

ESTUDIO RETROSPECTIVO DE EFICACIA Y SEGURIDAD DEL TRATAMIENTO SUSTITUTIVO ENZIMÁTICO EN PACIENTES CON ENFERMEDADES LISOSOMALES



Servicio Murciano de Salud

Titos-Arcos JC, Espuny-Miró A, Iranzo-Fernández MD, Sánchez-Quiles I, Sánchez-Catalicio MM, Molina-Guillén P



Servicio de Farmacia. Hospital General Universitario Morales Meseguer

OBJETIVOS

Analizar la eficacia y seguridad del tratamiento con alfa-glucosidasa (Myozyme®) e imiglucerasa (Cerezyme®) en pacientes adultos diagnosticados de enfermedad de Pompe y enfermedad de Gaucher, respectivamente.

MÉTODOS

Estudio retrospectivo de la evolución clínica, mediante la consulta de las historias clínicas, de pacientes con enfermedades lisosomales.

Como variables de eficacia se evaluaron las siguientes:

- Enfermedad de Pompe (EP): enzimas hepáticas (GOT, GPT, LDH), enzimas musculares (CPK, aldolasa), función respiratoria (capacidad vital forzada) y función motora.
- Enfermedad de Gaucher (EG): pruebas sanguíneas (hemoglobina, hematocrito, plaquetas), actividad enzimática quitotriosidasa, biomarcador CCL18/PARK, tamaño visceral (hígado y bazo) y estado óseo.

RESULTADOS

Se revisaron 3 historias clínicas: 2 pacientes (una mujer y un varón) diagnosticados de EP a los 35 y 42 años, respectivamente, y una mujer diagnosticada de EG a los 65 años.

Los pacientes con EP fueron tratados con alfa-glucosidasa a una dosis de 20mg/kg c/14 días:

- Mujer: desde el inicio del tratamiento (noviembre de 2005) hasta el último control (enero 2009) la evolución de las enzimas hepáticas ha sido: GOT de 133→70 [8-30 UI/L], GPT de 257→94 [10-40 UI/L], LDH de 1266→918 [208-378 UI/L]. Las enzimas musculares también mejoraron: CPK de 1284→594 [38-174 UI/L] y aldolasa de 17,9→9,7 [0,7-7,6 UI/L]. La capacidad vital forzada en la mujer ha aumentado de 1,43 litros a 1,76 litros y también ha habido una mejora de la función motora.

- Hombre: desde el inicio del tratamiento (octubre de 2007) hasta el último control (enero 2009) la evolución de las diferentes enzimas ha sido: GOT de 80→54, GPT de 88→71, LDH (no se solicitaron), CPK de 1086→672, mientras que de la enzima aldolasa no se hizo seguimiento desde el diagnóstico de la enfermedad (valor inicial de 13,1). En cuanto al

resto, indicar que ha habido una mejora de la función motora y que no presentaba disfunción respiratoria.

En lo que se refiere a la mujer con EG, inició tratamiento con imiglucerasa en abril de 2007 con una dosis de 49 mg/kg c/14 días. Los resultados analíticos desde el inicio del tratamiento en 2007 hasta febrero de 2009 han mejorado positivamente: hemoglobina de 11,5→14,3 [12-15,6 g/L], hematocrito de 30,2→40,5 [37-47 %] y plaquetas de 55000→133000 [140-400x10³/L]. La actividad quitotriosidasa ha disminuido desde 10696→1905 [0-253 nM/mLxh] al igual que el biomarcador CCL18/PARK desde 2289→613 ng/mL. La hepatoesplenomegalia ha disminuido, especialmente el hígado en 3 cm, mientras que la función ósea persiste sin mejoría.

En cuanto a la seguridad de ambos fármacos, no se notificaron efectos adversos ni durante la administración ni después de la misma, si bien hay que destacar la premedicación con una ampolla de dexclorfeniramina 5 mg a la paciente con EG previa a la administración de imiglucerasa a petición propia.

CONCLUSIONES

La respuesta al tratamiento enzimático en los 3 pacientes estudiados ha sido favorable desde el inicio del mismo, observándose una mejora en las variables de eficacia estudiadas, con excepción del estado óseo de la paciente con EG, manifestando un buen perfil de seguridad y tolerancia en los casos estudiados.