

EVALUACIÓN DEL TRATAMIENTO DE LA ENFERMEDAD DE GAUCHER EN UN CENTRO DE REFERENCIA PARA ESTA PATOLOGÍA

Varela I, Serrano N, Agustín MJ, Huarte R, Rabanaque MJ*, Giraldo P**

Servicio de Farmacia. HUMS. Zaragoza. *Departamento de Medicina Preventiva, Microbiología y Salud Pública. Facultad de Medicina. Universidad de Zaragoza. **Servicio de Hematología. HUMS. Zaragoza.

OBJETIVO

Descripción de la efectividad y seguridad de las dos líneas de tratamiento de la enfermedad de Gaucher (EG): tratamiento enzimático sustitutivo (TES) y terapia de reducción de sustrato (TRS).

MATERIAL Y MÉTODO

- **Tipo de estudio:** Observacional retrospectivo.
- **Seguimiento:** 2 primeros años de tratamiento.
- **Variables descriptivas:** sexo, tipo de EG y tipo de tratamiento.
- **Variables de efectividad:** volúmenes viscerales, nivel de hemoglobina y de plaquetas.
- **Variables de seguridad:** efectos adversos (EA).
- **Análisis estadístico:** SPSS v.15.0.

RESULTADOS

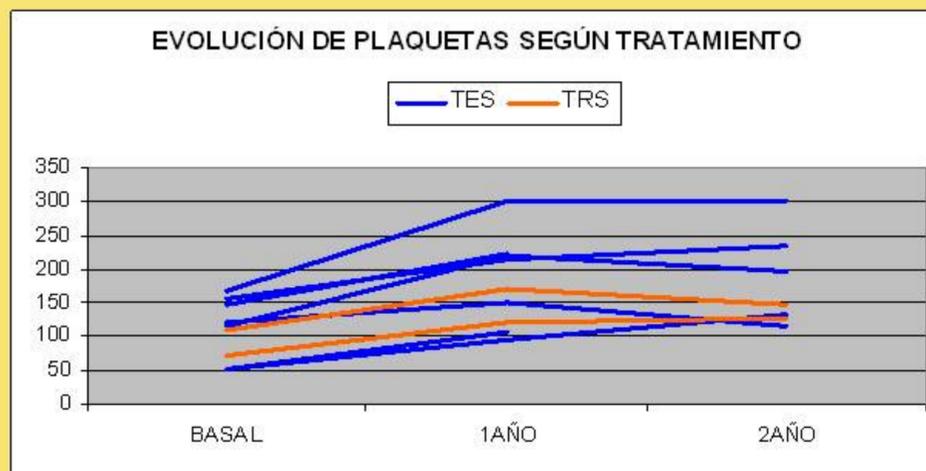
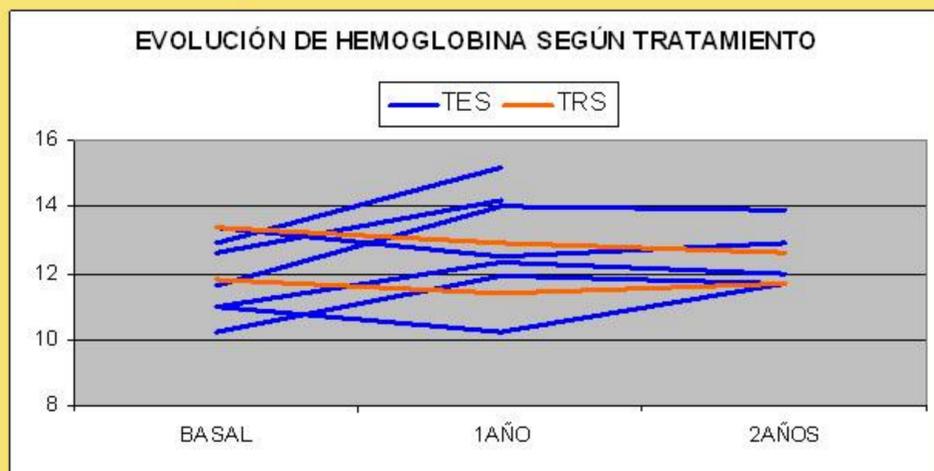
SEXO → 4 hombres
6 mujeres

TIPO DE EG → I: 9 pacientes
III: 1 paciente

TRATAMIENTO → TES: 8 pacientes
TRS: 2 pacientes

TRATAMIENTO*	Volumen HÍGADO		Volumen BAZO	
	1er año	2º año	1er año	2º año
TES	Disminuye	Disminuye	Elevado sin modificación	Disminuye
TES	Disminuye	Elevado sin modificación	Disminuye	Disminuye
TES	Disminuye	Disminuye	Disminuye	Disminuye
TES	Normal	Se mantiene normal	Disminuye	Elevado sin modificación
TES	Disminuye	Normal	Disminuye	Normal
TRS	Aumenta	Elevado sin modificación	Disminuye	Elevado sin modificación

*Datos disponibles



EA: 66,4% pacientes → **TES:** reacción a la infusión (4 pacientes) y de hipersensibilidad (1 paciente)
TRS: desórdenes gastrointestinales (2 pacientes)

CONCLUSIONES

- La reducción de la hepatoesplenomegalia es superior en la línea de tratamiento del TES.
- Los parámetros hematológicos alterados se normalizan prácticamente en todos los pacientes, siendo más efectivo el tratamiento sobre la hemoglobina.
- Ambos tratamientos son considerados seguros por presentar EA frecuentes pero de escasa gravedad.