

# TERAPIA ENZIMÁTICA SUSTITUTIVA EN EL TRATAMIENTO DE ENFERMEDAD DE POMPE DE INICIO TARDÍO

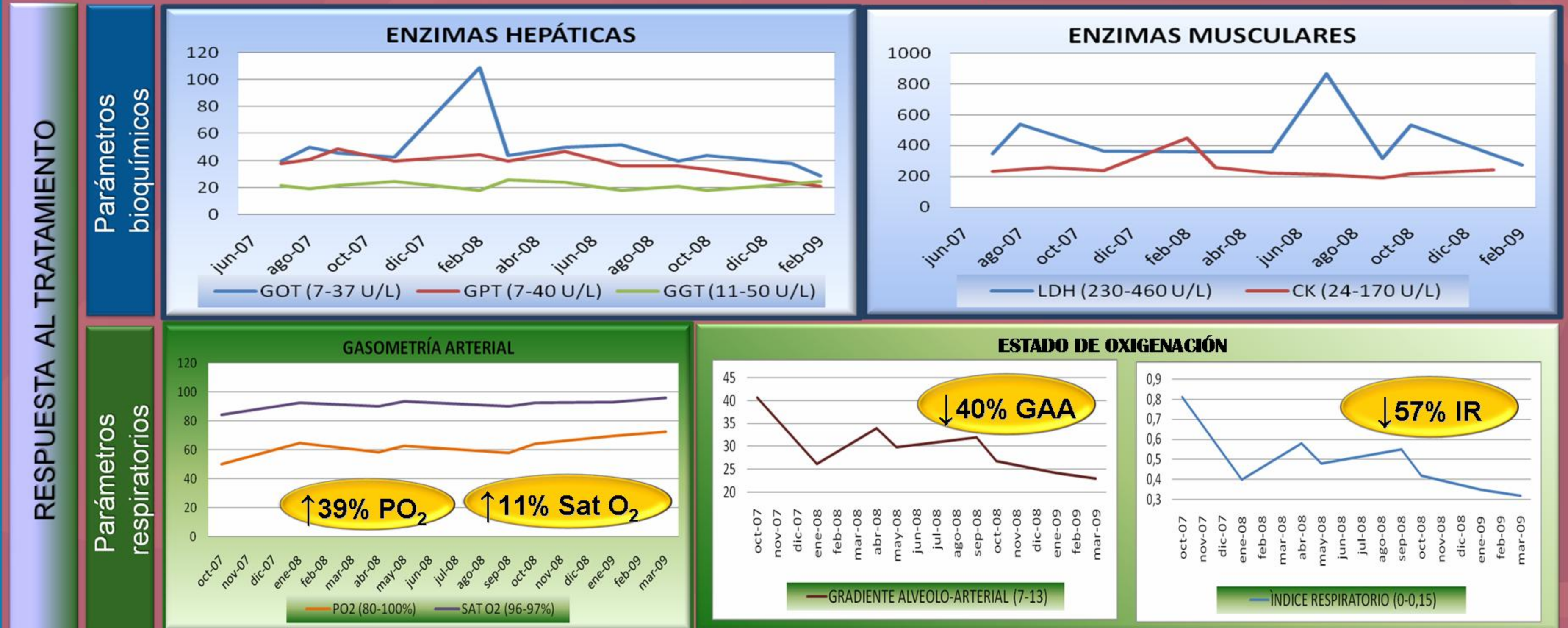
## Objetivo

- Describir un caso de **Enfermedad de Pompe de inicio tardío**.
- Analizar la **evolución funcional** durante la terapia de recambio enzimático usando **parámetros bioquímicos y respiratorios** como marcadores de progresión.
- Describir las **reacciones adversas** derivadas del tratamiento.

## Material y métodos

Estudio observacional retrospectivo de un paciente diagnosticado de Enfermedad de Pompe que en 2007 inició tratamiento con la forma recombinante de la enzima, dosificada a 20 mg/kg cada dos semanas. Durante el periodo de estudio (junio 2007 – marzo 2009), se registraron valores de enzimas séricas (GOT, GPT, GGT, LDH y CK) y parámetros de función respiratoria como marcadores clínicos de progresión de la enfermedad.

## Resultados



**SEGURIDAD** No efectos adversos relacionados con la perfusión

## Conclusiones

Aunque no se observan signos de mejoría clínica en cuanto a la bioquímica sanguínea, sí se observan en los parámetros de función respiratoria. Por tanto, la terapia enzimática sustitutiva parece frenar la progresión de la enfermedad y mejorar la calidad de vida, ofreciendo una alternativa terapéutica a corto plazo bien tolerada.