



Serrano De Lucas L, Puente Martínez P, Zapico García I, Vergniory Trueba OA, Iglesias García MT.
Servicio de Farmacia Hospitalaria. HOSPITAL SAN AGUSTÍN (Avilés)

OBJETIVO

Evaluar la seguridad y efectividad del tratamiento con eculizumab en un paciente diagnosticado de hemoglobinuria paroxística nocturna (HPN).

MATERIAL Y MÉTODOS

HEMOGLOBINURIA PAROXÍSTICA NOCTURNA



Debido a una mutación genética los eritrocitos no pueden unirse al CD59, cuya ausencia provoca que el sistema del complemento pueda destruirlos.

TRATAMIENTO DE LA HPN

El único tratamiento potencialmente curativo es el trasplante de médula ósea.

Tratamiento sintomático: transfusiones, hierro, ácido fólico o inmunosupresores.

ECULIZUMAB: NUEVO TRATAMIENTO PARA HPN

Autorizado en España el 07/08/2007



Evita que el complemento lise los eritrocitos mediante su unión a la proteína C5.

REVISIÓN RETROSPECTIVA DE LA HISTORIA CLÍNICA DEL PACIENTE

Paciente varón diagnosticado en 1993 de anemia aplásica y tratado con ciclosporina hasta diciembre de 2004. En mayo de 2005 fue diagnosticado de HPN mediante citometría de flujo, detectándose déficit de CD59, CD55 y CD24. Fue tratado con corticoides, ciclosporina y suplementos de hierro, ácido fólico y vitaminas B12, B6 y B1 hasta el momento de iniciar eculizumab. Fue vacunado frente a meningococo antes de iniciar el tratamiento con eculizumab.

PARÁMETROS DE EFICACIA: aumento de la hemoglobina, descenso de los requerimientos transfusionales, descenso de la LDH.

PARÁMETROS DE SEGURIDAD: reacciones a la infusión del fármaco, enfermedades infecciosas.

RESULTADOS

El paciente ha sido tratado con eculizumab desde julio de 2008, recibiendo un total de **22 dosis**, las cuatro primeras de 600mg y el resto de 900mg, tal y como recomienda la ficha técnica.

HEMOGLOBINA:

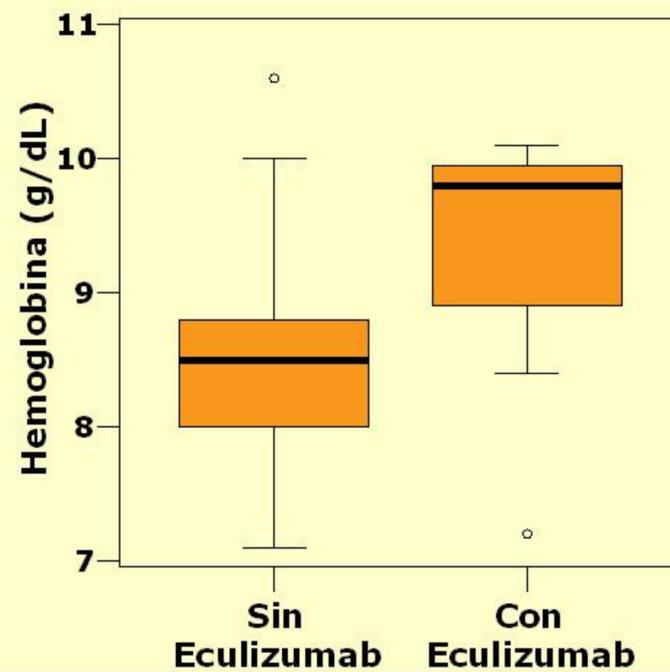
La hemoglobina media ha aumentado de **8,5g/dL sin eculizumab** a **9,6g/dL con eculizumab**, lo cual supone un aumento de 1,1g/dL (IC 95%: **0,5g/dL – 1,8g/dL**).

LDH: ha descendido de **2.564UI/L** a **439UI/L**.

TRANSFUSIONES: 6 concentrados de hematíes de enero a junio de 2008 y **ninguna** desde el inicio del tratamiento.

REACCIONES A LA INFUSIÓN: **ninguna**.

INFECCIONES: **tres infecciones** de vías respiratorias altas asociadas a neutropenia en octubre de 2008, febrero de 2009 y marzo de 2009, que han sido tratadas con levofloxacino y, en uno de los casos, también con factores estimulantes de colonias, **sin requerir hospitalización**.



CONCLUSIONES

El tratamiento con eculizumab está siendo efectivo. La seguridad no ha sido óptima, ya que el paciente ha sufrido infecciones, pero ha sido aceptable, puesto que ninguna dosis de eculizumab ha tenido que ser retrasada o suspendida por este motivo.