

ECULIZUMAB: ALTERNATIVA FARMACOLÓGICA PARA LA HEMOGLOBINURIA PAROXÍSTICA NOCTURNA. A PROPÓSITO DE UN CASO

Objetivo

Describir la evolución de una paciente con **hemoglobinuria paroxística nocturna (HPN)** y valorar su tratamiento con **eculizumab**.

Material y métodos

La HPN es una enfermedad crónica debida a una mutación que origina un déficit de grupos GPI (glucosilfosfatidilinositol), encargados de proteger al eritrocito de la destrucción por el sistema del complemento. Este déficit hace al eritrocito anormalmente susceptible a la lisis mediada por el sistema del complemento, lo que explica la hemólisis intravascular característica de esta patología.

Ecuzumab es un anticuerpo monoclonal que restablece la regulación del sistema del complemento e inhibe la hemólisis intravascular en pacientes con HPN.

Se revisa la historia clínica de una paciente con HPN tratada con eculizumab, el registro farmacoterapéutico del Servicio de Farmacia y las analíticas de la paciente previas y posteriores al tratamiento.

Variables a estudio: estabilización de la Hb, necesidad de transfusión, fatiga y calidad de vida, LDH y aparición de reacciones adversas.

Resultados

Mujer de 58 años diagnosticada de HPN en 1978

MANIFESTACIONES CLÍNICAS

Fatiga crónica, pancitopenia, orinas oscuras, dolor recurrente.

Situación de hemólisis crónica

TTO PREVIO

CONCENTRADOS DE HEMATÍES
prednisona a dosis bajas
ácido fólico
sales ferrosas
danazol

Valores de Hb (g/dL)



Valores de LDH (U/L)



ECULIZUMAB

Inicio tto: agosto 2008

D₀: 600 mg/sem (4 sem)

900 mg (5ª sem)

D_m: 900 mg/2 sem

Estabilización Hb
LDH en descenso
NO TRANSFUSIONES
No signos de fatiga
No reacciones adversas
Mejora calidad de vida

Conclusiones

- ✓ La paciente presenta una evolución favorable desde el inicio del tratamiento con eculizumab, observándose una mejoría de la anemia, la fatiga y el grado de hemólisis, y una buena tolerancia.
- ✓ Considerando que la HPN es una enfermedad crónica, la paciente debe continuar con eculizumab, para poder mantener la situación de remisión clínica de los signos y síntomas de la enfermedad.