

Uso de Eculizumab en el manejo de la Hemoglobinuria Paroxística Nocturna. Reporte de los primeros 2 casos tratados en Chile.

Ramirez, P*

Departamento de Hematología Oncología, P. Universidad Católica de Chile

Introducción: Hemoglobinuria paroxística nocturna (HPN) es una enfermedad adquirida clonal de la célula madre hematopoyética, caracterizada por hemólisis intravascular crónica con liberación de hemoglobina libre la cual es causante de las complicaciones, incluidas trombosis y falla renal aguda, principales causas de muerte de estos pacientes. Salvo el trasplante alogénico de médula ósea, no existen tratamientos curativos. En 2007, la FDA aprobó el uso de Eculizumab en el tratamiento de HPN, que mediante su unión a complemento C5, inhibe la formación de los componentes terminales de la cascada del complemento y así la hemólisis crónica intravascular, lo cual ha demostrado mejoría en sobrevida global y control de los síntomas.

Reportamos los 2 primeros casos en Chile tratados con este anticuerpo monoclonal.
Pacientes y tratamiento: El primer paciente es un hombre de 30 años con antecedentes de múltiples eventos trombóticos cerebrales, de extremidades y hepático en 2008. Estudios de laboratorio demostraban pancitopenia moderada y LDH elevada. Test de sucrosa fue positivo y la citometría de flujo en sangre periférica demostró un clon HPN sobre 60%. Manejado inicialmente con anticoagulación presentó significativo deterioro de su calidad de vida. En 2011 inició Eculizumab según recomendación estándar, presentando recuperación significativa de su calidad de vida y de los parámetros de laboratorio incluyendo control de la hemólisis intravascular. RNM abdominal demostró regresión parcial de trombosis hepática, manteniéndose con anticoagulación oral en rango terapéutico. Actualmente haciendo vida normal.
La segunda es una mujer de 24 años previamente sana, que a inicios de 2011 inició deterioro de su capacidad funcional y fue hospitalizada por una crisis hemolítica y falla renal aguda con LDH aumentada. Citometría de flujo confirmó clon HPN superior al 80%. Inició Eculizumab a las dosis habituales presentando rápida normalización de la LDH y normalización de su calidad de vida. No ha vuelto a presentar crisis hemolíticas ni falla renal aguda.

Conclusiones: Eculizumab es una terapia efectiva en el manejo de HPN. El tratamiento debiera estar disponible y financiado por el sistema de salud chileno dado que se ha demostrado que mejora la sobrevida global asemejándola a la población sana y permite a los pacientes volver a su vida normal.