

REGISTRO NACIONAL DE TRATAMIENTO CON DEFERIPRONA

B. Arrizabalaga, S. de la Iglesia, E. Oliva, M.T. Pascual, J.A. Muñoz, A. Cervera, A. Carreras, L. Font, I. Olazabal, Grupo Español Eritropatología.

Introducción: La deferoxamina (DFO) es el único fármaco quelante de hierro aprobado en el tratamiento de la sobrecarga férrica de cualquier etiología. Ha demostrado ser eficaz y seguro, aunque la necesidad de prolongadas infusiones parenterales hace que sea un tratamiento incómodo. En agosto de 1999 la Comisión Europea emitió una autorización de aprobación del quelante de hierro oral Deferiprona (DFP) (3 hidroxí 1,2 dimetil piridin-4-ona) en "pacientes con sobrecarga de Fe afectos de Talasemia Mayor [TM] en los que el tratamiento con DFO está contraindicado o es inadecuado". La DFP es un ligando bidentado de Fe que se absorbe bien por vía oral, metaboliza en hígado en un derivado glucuronizado y se elimina por orina. Su vida media es de 1 a 2,5 horas. Desde abril del 2003 el Grupo Español de Eritropatología mantiene abierto un Registro Nacional de tratamiento con DFP.

Pacientes y método: Se han incluido 17 pacientes con Anemias Congénitas Transfusionales (8 Talasemias Mayor, 4 Talasemias intermedias, 2 Hemoglobinas SS, 1 Hemoglobina Louisville, 2 Anemias Diseritropoyéticas Congénitas). Se valora: *Eficacia:* perfil férrico mensual. De manera opcional también se ha incluido la cuantificación de Fe hepático mediante biopsia y/o RMN. *Tolerancia:* hematimetría bisemanal para despistaje de agranulocitosis. *Adhesión:* se define como buena si el paciente cumple más del 75% de la medicación prescrita.

Resultados: Se han evaluado 16 pacientes con un tiempo medio de duración del tratamiento con DFP de 24,9 meses (5-40), 7 de ellos reciben además tratamiento combinado con DFO (entre 2-5d/sem.). *Eficacia:* se ha objetivado una disminución media de los niveles de ferritina de 897 ng/ml. De forma individual se define la eficacia siempre que disminuya los niveles de ferritina sérica a pesar del régimen transfusional y se mantengan estos niveles < 2.500 ng/ml. *Tolerancia:* sólo se ha registrado un efecto adverso importante de artropatía que cedió al suspender Ferriprox[®]. No se ha comunicado ningún caso de agranulocitosis que supone el efecto adverso más grave conocido (0,5% de tratamientos con DFP). *Adhesión:* ha sido definida como buena salvo en uno de los pacientes. Otro suspendió en el tratamiento de forma voluntaria.

Conclusión: 1) La Deferiprona (Ferriprox[®]) ha sido eficaz en un 80% de los pacientes incluidos, utilizada sola o en combinación con DFO. 2) La tolerancia ha sido buena, no se ha registrado toxicidad hepatorenal ni ningún caso de agranulocitosis. 3) La adhesión ha sido buena y el nivel de satisfacción de los pacientes es alto en comparación a las infusiones subcutáneas de 10-12 horas diarias de la DFO.