

REGISTRO INTERNACIONAL DE HEMOGLOBINURIA PAROXÍSTICA NOCTURNA: SITUACIÓN ACTUAL EN ESPAÑA

M. López Rubio, E. Ojeda, R. Núñez, F.A. González, M. Morado, B. Arrizabalaga, E. Colado, A. Remacha, I. Jarque, I. Ceberio, B. Pérez de Mendiguren, S. de la Iglesia, J. Moraleda, E. Orna, A. Figueredo, J.M. Vagace, J.A. Muñoz, J. Mayans, R. Córdoba, J.J. Gil Fernández, A. Gaya
Hospital Príncipe de Asturias. Alcalá de Henares (Madrid). Hospital Puerta de Hierro Majadahonda (Madrid). Hospital Virgen del Rocío. Sevilla. Hospital Clínico San Carlos. Madrid. Hospital Universitario La Paz. Madrid. Hospital de Cruces. Baracaldo (Vizcaya). Hospital Central de Asturias. Oviedo. Complejo Hospitalario de Toledo. Hospital Universitario La Fe. Valencia. Hospital de Navarra. Pamplona. Hospital General Yagüe. Burgos. Hospital Universitario de Gran Canaria Dr. Negrín. Las Palmas de Gran Canaria. Hospital Virgen de la Arrixaca. Murcia. Hospital Germans Trias i Pujol. Badalona (Barcelona). Hospital Virgen Macarena. Sevilla. Complejo Hospitalario de Badajoz. Hospital Puerta del Mar. Cádiz. Hospital Arnau de Vilanova. Valencia. Hospital Reina Sofía. San Sebastián de los Reyes (Madrid). Hospital Clínic Provincial. Barcelona

Introducción: La hemoglobinuria paroxística nocturna (HPN) es una enfermedad rara y grave caracterizada por hemólisis intravascular mediada por complemento, trombosis e insuficiencia medular, con grados variables de insuficiencia renal e hipertensión pulmonar. El tratamiento con eculizumab controla la hemólisis y disminuye la incidencia de trombosis, consiguiendo una supervivencia similar a la población general. La aprobación del eculizumab para el tratamiento de la HPN llevó consigo la creación de un registro internacional de pacientes para recoger datos clínicos, de seguridad y de calidad de vida de los pacientes.

Métodos: El Registro de HPN es un estudio observacional en el se incluyen pacientes con todos los subtipos de HPN, estén o no en tratamiento con eculizumab. Cada 6 meses se recoge información de datos clínicos, diagnósticos, tratamiento y complicaciones, que sirven para caracterizar la progresión de la HPN así como evaluar los datos específicos de seguridad del eculizumab. En el PNH Registry hay actualmente 915 pacientes.

Resultados: En abril de 2010 se activó el primer centro en España, existiendo en la actualidad 24 hospitales activados y 17 hospitales en trámites de activación. Hasta mayo de 2011 se han incluido 83 pacientes. Presentamos los datos de 72 pacientes incluidos a fecha de 30 de abril 2011 en España. La mediana de edad de los pacientes al diagnóstico fue de 36 años y de 48 a la inclusión en el Registro, siendo varones el 59%. Respecto al tipo de HPN, 34 casos corresponden a HPN clásica, 28 son HPN asociada a Aplasia Medular (AM) y 8 pacientes son HPN subclínica: 3 asociados a síndrome mielodisplásico, 4 a aplasia medular y 1 a mielofibrosis. Analizados los datos entre los pacientes con HPN clásica respecto a HPN asociada a AM, no encontramos diferencias significativas en cuanto al % de clona >50% (64 vs 53% de los pacientes), mediana de niveles de LDH (437 vs 446 U/L), incidencia de trombosis (29 vs 25%) ni disfunción renal (29 vs 25%). La presencia de disfagia, disnea, fatiga y disfunción eréctil fue similar en ambos grupos. La edad al diagnóstico fue superior en el grupo de HPN asociada a AM (45 vs 34 años), mientras que la presencia de hemoglobinuria y dolor abdominal fue mayor en el grupo de HPN clásica. El porcentaje de pacientes que precisaron transfusiones en los 6 meses previos fue mayor en el grupo de AM (50 vs 11%). Respecto al tratamiento, 17 pacientes reciben tratamiento con eculizumab (32% HPN clásica y 21% AM); 22 tratamiento anticoagulante (38% vs 32%) y 22 han recibido tratamiento inmunosupresor (26 vs 46%).

Conclusiones: Aunque los datos corresponden a una serie pequeña de pacientes, no existen diferencias significativas entre el comportamiento clínico de la HPN clásica y la HPN asociada a aplasia medular con hemólisis. Dada la extrema rareza y la gravedad de la enfermedad, la participación en el Registro de HPN es primordial ya que nos aportará conocimientos acerca de la historia natural de la enfermedad, la eficacia de fármacos y las complicaciones, que de otra manera serían imposibles de obtener.