

REGISTRO DE QUELACIÓN DE HIERRO EN ANEMIAS HEREDITARIAS CON DEFERASIROX

F.A. González Fernández¹, A. Villegas Martín¹, S. de la Iglesia Íñigo², D. Benítez Pastor³, M. Morado⁴, J.A. Muñoz Muñoz⁵, M. González⁶, A. Cervera Bravo⁷, G. Martín Núñez⁸, A. Navajas⁹, B. Arrizabalaga¹⁰, T. Pascual¹¹; Grupo Español de Eritropatología

¹Servicio de Hematología. Hospital Clínico San Carlos. Madrid. ²Servicio de Hematología.

Hospital Universitario de Gran Canaria Dr. Negrín. Las Palmas de Gran Canaria. ³Servicio de Hematología.

Hospital Universitari Vall d'Hebron. Barcelona. ⁴Servicio de Hematología. Hospital Universitario La

Paz. Madrid. ⁵Servicio de Hematología. Hospital Universitario "Puerta del Mar". Cádiz. ⁶Servicio de

Hematología. Hospital de la Línea de la Concepción. Cádiz. ⁷Servicio de Pediatría. Hospital de Móstoles

(Madrid). ⁸Servicio de Hematología. Hospital Virgen del Puerto. Plasencia. ⁹Servicio de Pediatría. Hospital

de Cruces. Baracaldo (Vizcaya). ¹⁰Servicio de Hematología. Hospital de Cruces. Baracaldo (Vizcaya).

¹¹Servicio de Hematología. Hospital Universitario Príncipe de Asturias. Alcalá de Henares (Madrid)

Introducción: La sobrecarga de hierro es una complicación inevitable de la transfusión crónica y constituye la principal causa de morbi-mortalidad en los pacientes transfusión dependientes, lo que obliga a la instauración de un tratamiento quelante.

Objetivo: Valorar la tolerancia y eficacia del deferasirox (DFX) en la práctica clínica diaria (fuera de ensayos clínicos) en pacientes con sobrecarga de hierro en anemias hereditarias transfusión dependientes.

Material y métodos: Se han estudiado 38 pacientes: 23 con talasemia mayor; 8 con talasemia intermedia, 4 con degranocitosis, 1 con déficit de PK y 2 con Blackfan-Diamond. La edad media fue de 31 años (extremos de 4 a 63), siendo el 84,2% mayor de 18 años y el 60,5% mayor de 30. 15 (39,5%) eran varones y 23 (60,5%) mujeres.

Resultados: La mediana de seguimiento fue de 25 meses (extremos 1-76). La dosis media utilizada fue de 22 mg/kg (extremos 5-40). Presentaron efectos adversos el 44,7% de los pacientes. El 26,3% presentaron molestias digestivas, el 7,9% rash cutáneo, el 2,6% aumento de la creatinina y el 18,4% aumento de transaminasas. Se modificó la dosis en el 68,4% de los pacientes aunque solo en el 21,1% por efectos adversos y en el 47,4% restante por respuesta subóptima o quelación excesiva. Los efectos adversos fueron leves-moderados de forma que solo abandonaron el tratamiento por toxicidad 3 pacientes (7,9%), 2 por aumento de transaminasas y 1 por rash cutáneo. La ferritina media al inicio del tratamiento fue de 2.435 ug/L (extremos 237-14.899). Se observó un balance negativo con descenso de la ferritina en el 60,7% de los pacientes evaluados a los 6 meses de tratamiento, en el 70,8% al año, en el 62,5% a los 3 años y en el 66,7% a los 4 años. Se realizaron 55 estudios de RM en los que se valoró la concentración hepática de hierro (CHH) en 25 pacientes durante su seguimiento observándose una correlación entre la ferritina y la CHH de r:0,64 p:0,001. Los pacientes evaluados por RM presentaron un descenso en la CHH en el 77,8% de los casos al año, en el 71,4 a los 2 años y en el 83,3% a los 3 años. En las 24 ocasiones que se estimó el grado de acumulo cardiaco por RM el estudio se valoró como normal excepto en un caso.

Discusión: El DFX es un quelante oral con una excelente adhesión. Presenta un perfil de toxicidad leve-moderada que en 1/4 de los pacientes obliga a modificar la dosis y en menos de 10 % a abandonar el tratamiento. Pese al régimen transfusional se obtuvo un balance negativo de hierro en más de 2/3 de los pacientes desde los 6 primeros meses de forma mantenida, existiendo una buena correlación entre la ferritina y la CHH pese a que cada centro tenía diferentes metodologías y equipos.