Rev Clin Esp. 2020;220(Espec Congr):20

Revista Clínica Española

https://www.revclinesp.es

EM-007 - TERAPIA DE REEMPLAZO ENZIMÁTICO EN LA ENFERMEDAD DE HUNTER: UNA REVISIÓN SISTEMÁTICA CON SÍNTESIS NARRATIVA Y META-ANÁLISIS

P. Wikman-Jorgensen[1], A. López Amorós[2], J. Peris[1], P. Esteve Atiénzar[1], R. Cañizares[1], M. Asensio[1], J. Seguí-Ripoll[1] y V. Giner-Galvañ[1]

[1]Medicina Interna. Hospital Universitario Sant Joan de Alicante. Sant Joan d'Alacant (Alicante). [2]Medicina Interna. Hospital de Elda Virgen de la Salud. Elda (Alicante).

Resumen

Objetivos: Evaluar la eficacia de la terapia de reemplazo enzimático (TRE) en la enfermedad de Hunter (EH) (mucopolisacridosis tipo II).

Material y métodos: Búsqueda sistemática en las bases de datos electrónicas de revistas médicas Pubmed, EMBASE y Cochrane Central. Se incluyeron ensayos clínicos y estudios observacionales. Los datos fueron extraídos de los artículos incluidos mediante una hoja de recogida de datos específica. Los datos se analizaron en el programa Revman 5.3.

Resultados: Se hallaron 677 registros, quedaron 559 tras eliminación de duplicados. Por análisis de título y resumen se excluyeron 427. Se realizó lectura completa del resto (122). Se incluyeron 42. No se pudo realizar meta-análisis de todos los puntos evaluados por heterogeneidad en la forma de reportar y medir las variables. Se incluyeron 8 ensayos clínicos, 6 con elevado riesgo de sesgo. La calidad del resto de estudios fue: baja 12%, media 68% y buena 21%. Se observó: una reducción en la eliminación de glicosaminoglicanos (GAG) en orina en todos los estudios analizados (26/26), disminución el tamaño de hígado y bazo (18/18), incremento de 52,59m (IC95%, 36,42-68,76, $p < 0,001$) en el test de la marcha de los 6 minutos (TM6M), en la capacidad vital forzada (CVF) del 9,59% (IC95% 4,77-14,51, $p < 0,001$), reducción del indice de masa ventricular izquierda del 3,57%(IC95% 1,2-5,93), una reducción de mortalidad (OR) de 0,44 (0,27-0,71).(1).

Discusión: Los datos sugieren un efecto claro y consistente en reducción de la acumulación de GAG en el organismo, demostrado por la reducción de su excreción urinaria, así como por la reducción de sus depósitos (bazo, hígado y corazón). Asimismo, se ha visto una mejoría en la función física y respiratoria. Además, se ha observado una reducción de mortalidad. Las principales limitaciones para establecer conclusiones sólidas fueron: escasez de estudios, pequeño tamaño y carencias metodológicas.

Conclusiones: Los datos sugieren que la TRE es eficaz en el tratamiento de la EH. Existe la necesidad de evaluar resultados centrados en el paciente como el impacto en la calidad de vida.

Bibliografía

1. Burton B, Jego V, Mikl J, Jones S. Survival in idursulfase-treated and untreated patients with mucopolysaccharidosis type II: Data from the Hunter Outcome Survey (HOS). J Inherit Metab Dis. 2017;40:867-74.

0014-2565 / © 2020, Elsevier España S.L.U. y Sociedad Española de Medicina Interna (SEMI). Todos los derechos reservados.