# UTILIZACIÓN DE DEFIBROTIDE EN PEDIATRÍA EN LA ENFERMEDAD VENOOCLUSIVA POST-TRASPLANTE

Ruiz de Villegas García-Pelayo M., Mora Rodríguez B., Alcaraz Sánchez JJ.
Farmacia Hospitalaria. Hospital Regional Universitario de Málaga.

141

## Resumen:

El defibrotide está indicado para el tratamiento de la enfermedad venooclusiva hepática grave (EVO) en el trasplante de células progenitoras hematopoyéticas (TPH) tanto en adultos como en pediatría. Actualmente se está estudiando su eficacia y seguridad como **profilaxis de EVO en TPH** en ambas poblaciones.

## Objetivo:

Análisis descriptivo de la utilización de defibrotide en Pediatría y evaluar su eficacia y toxicidad.

## Material y métodos:

- → Estudio observacional de niños tratados con defibrotide entre julio de 2016 y julio de 2019.
- → Se recogieron variables demográficas: edad, sexo y peso.
- → Se recogieron variables clínicas: diagnóstico, tipo de trasplante, esquema de acondicionamiento, indicación de defibrotide (profilaxis/tratamiento), dosis, posología, inicio, duración, aparición de EVO y gravedad de la misma según **criterios EBMT** (European group for blood and Marrow Transplantation), criterio de retirada y toxicidad.
- → También se valoró la supervivencia a los 100 días postrasplante.
- → Los criterios de retirada fueron curación o falta de eficacia (empeoramiento/exitus) y, en el caso de profilaxis, la no aparición de EVO.
- → La curación se consideró como mejoría clínica (hepatomegalia, ascitis y ganancia de peso) y analítica (normalización de los parámetros bilirrubina y plaquetas).

## Resultados:

**13 pacientes**

**EDAD**
4,33 (1,6-15) años
Mediana

**PESO**
15 (9-40) kg
Mediana

**SEXO**
5 (38%)
Mujeres

| DIAGNÓSTICO |
|---|
| **1º** neuroblastoma de alto riesgo (9 niños,TPH autólogo, acondicionamiento BuMel) |
| **2º** leucemia aguda linfoide (3 niños, TPH alogénico, esquemas TBF, GETMOL y secuencial). |
| **3º** enfermedad de Hodgkin (1 niño, TPH alogénico, acondicionamiento ciclofosfa/fludara/busulfan de intensidad reducida) |

Dosis en todos los pacientes: **25 mg/Kg/día** y no hubo reducción de dosis

### PROFILAXIS

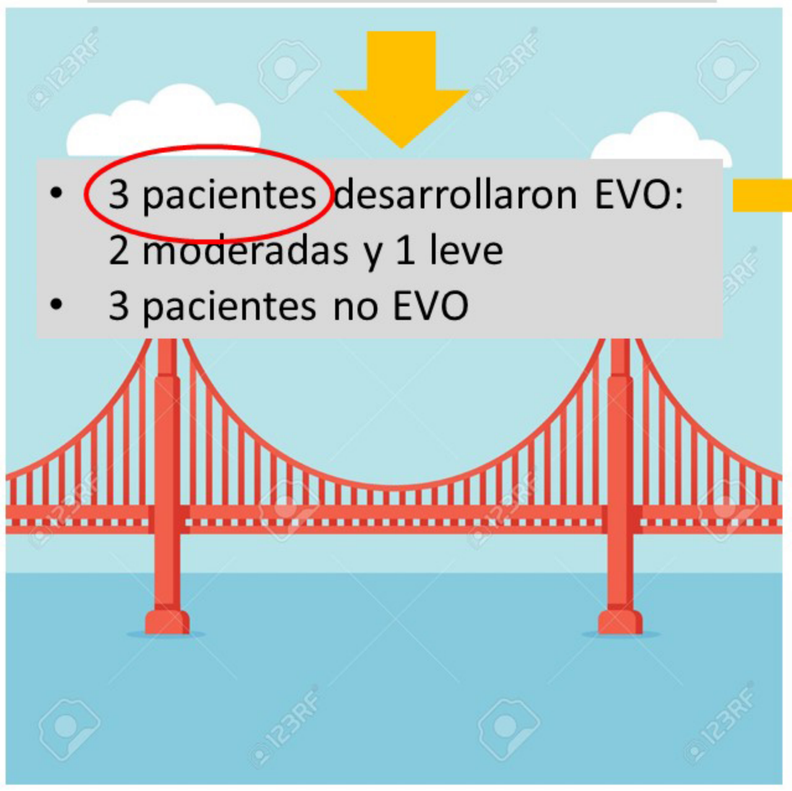
**6 pacientes**

- → Inicio: 7 días pretrasplante.
- → Duración media tratamiento: 22 (21-28) días.

### TRATAMIENTO

**7 pacientes**

- → Duración media tratamiento: 18 (13-35) días.




- 90% de curación (9/10 pacientes).
- Ningún caso de suspensión por efectos adversos.
- Ningún episodio hemorrágico.
- A los 100 días postrasplante, sobrevivieron 11 pacientes (85%).

## Conclusiones:

En pacientes pediátricos sometidos a TPH el empleo de defibrotide ha resultado eficaz para el tratamiento y la prevención de EVO. Defibrotide ha sido bien tolerado no presentando fenómenos hemorrágicos que obligaran la suspensión del tratamiento.