



EVALUACIÓN DE EFECTIVIDAD, SEGURIDAD Y COSTES DE ECULIZUMAB TRAS IMPLANTACIÓN DE UN PROTOCOLO DE USO Y SEGUIMIENTO

Araque Arroyo P, Fraga Fuentes MD, Valenzuela Gámez JC, Andrés Navarro N, López Sánchez P, Seisdedos Elcuaz, Rosa.

Servicio de Farmacia. CH Mancha-Centro. Alcázar de San Juan. Ciudad Real.

OBJETIVOS:

Eculizumab es un anticuerpo monoclonal humanizado recombinante que, por su mecanismo de acción, restablece la regulación del complemento e inhibe la hemólisis intravascular.

Tras el diagnóstico de un caso de **Hemoglobinuria paroxística nocturna** (HPN) en nuestro hospital, se aprobó en Comisión de Farmacia y Terapéutica un protocolo de uso y seguimiento de la eficacia y seguridad de Eculizumab.

MATERIAL Y MÉTODOS:

Se consideró paciente candidato al tratamiento si cumplía:

- Vacunación previa a meningococo
- Haber recibido al menos 4 transfusiones en el último año con requerimiento de ≥ 13 CHF
- $>10\%$ de hematíes tipo III confirmado por citometría de flujo
- ≥ 100.000 plaquetas/ mm^3
- Lactato deshidrogenasa (LDH) >3 veces el límite superior de la normalidad.

En la evaluación de la eficacia y seguridad, los parámetros objetivo fueron:

- Minimización de los eventos clínicos (trombosis, infección, hemólisis);
- Estabilización de los valores de Hemoglobina (Hb);
- Reducción significativa y estabilización del grado de hemólisis medida a través de la concentración sérica de LDH,
- Reducción de reticulocitos;
- Aumento de haptoglobina;
- Registro de reacciones adversas (infusionales y otras).

RESULTADOS

Paciente de 56 años diagnosticada de HPN en 1987 que ha cursado con anemia hemolítica crónica intravascular (Hb 7-9) requiriendo soporte transfusional por crisis hemolíticas de aproximadamente 2 CHF cada 2 meses en los últimos 2 años.

14/07/10: Inicio tratamiento con Eculizumab. Datos de laboratorio previos al inicio del tratamiento
LDH: 3530 UI/L (240-480 UI/L); Hb: 7,4 g/dL (12-16 g/dL); Haptoglobina: 28 mg/dL (30-200 mg/dL); Reticulocitos: 6.5 % (0,5-1,5 %), Plaquetas: 93000 uL (120000-400000 uL). Esquema según Ficha técnica.

6/04/2011, (22 dosis de Eculizumab), la paciente ha requerido **1 trasfusión con 2 CHF** (28/12/2010). Se han estabilizado los valores de Hb en torno a 8 g/dL y reducido significativamente los valores de **LDH (417 UI/L)**. Persisten los reticulocitos elevados (5,1%), haptoglobina baja (7,56 mg/dL) y plaquetas bajas (70000 uL). La paciente ha referido notoria mejora en su calidad de vida, con menos cansancio y astenia, sin episodios trombóticos ni otros efectos adversos. El **COSTE** asociado ha sido de **275.458,56 €**

CONCLUSIONES

Es necesario establecer criterios que prioricen de manera eficiente y equitativa el uso de Eculizumab y de innovaciones terapéuticas de alto coste a través de decisiones compartidas por los actores implicados.