PEDIATRÍA

El gel de glucosa puede prevenir la hipoglucemia neonatal

La hipoglucemia neonatal afecta a un 15% de recién nacidos y puede producir lesiones cerebrales. Para establecer si la administración oral de un gel de glucosa en neonatos de riesgo es eficaz en la prevención de la hipoglucemia, los investigadores de dos centros de Nueva Zelanda llevaron a cabo un ensayo clínico aleatorizado y doble ciego, con placebo y dosis controlada del gel de glucosa oral. Los recién nacidos ($n = 416$) en riesgo de hipoglucemia, pero sin necesidad de ingreso en la UCI neonatal (UCIN), fueron asignados aleatoriamente a uno de los cuatro grupos de tratamiento o uno de los cuatro grupos placebo. Los que fueron asignados a un grupo de tratamiento recibieron varias dosis de gel de glucosa al 40% masajeado en el interior de las mejillas, una o hasta cuatro veces después del nacimiento. Los bebés del grupo control recibieron las dosis correspondientes de placebo.

La variable de resultado principal fue el desarrollo de hipoglucemia en las primeras 48 horas de vida. Las variables de resultado secundarias incluyeron el ingreso en UCI, el ingreso por hipoglucemia, y la lactancia materna al alta y a las 6 semanas.

Comparado con los neonatos del grupo control, aquellos que recibieron cualquier dosis de glucosa en gel oral tuvieron menos probabilidades de desarrollar episodios de hipoglucemia.

Aunque las tasas de ingreso en la UCIN fueron similares, el ingreso por hipoglucemia fue menos probable en el grupo de tratamiento. Se observaron pocas reacciones adversas y los índices de lactancia materna fueron similares en ambos grupos.

La mayoría de neonatos del estudio eran hijos de madres diabéticas. Este hecho puede limitar la aplicabilidad del estudio a neonatos con otros factores de riesgo de hipoglucemia.

Fuente: Hegarty JE, Harding JE, Gamble GD, Crowther CA, Edlin R, Alsweiler JM. Prophylactic oral dextrose gel for newborn babies at risk of neonatal hypoglycaemia: a randomised controlled dose-finding trial (the pre-hPOD study). *PLoS Med.* 2016;13(10):e1002155.

HEMOFILIA B

La terapia génica detiene la hemorragia durante un año

La hemofilia B, también llamada enfermedad de Christmas, es un trastorno hemorrágico hereditario producido por una deficiencia del factor IX. En un estudio con 9 hombres adultos con hemofilia B, los investigadores hallaron que una única dosis de una terapia génica experimental evitaba el sangrado espontáneo durante un periodo comprendido entre los dos meses y un año. Los nueve pacientes sufrían hemofilia moderada o grave y precisaban las costosas perfusiones semanales de factor IX.

La nueva terapia génica emplea un vector, una partícula de ADN, programada para entrar en las células hepáticas y activar la producción de factor IX.

Después de una única dosis, los pacientes consiguieron cuasi normalizar sus niveles de factor IX, liberándose así de tener que recibir las dosis semanales de este factor de coagulación. Un paciente se autoperfundió una dosis de factor de coagulación 2 días después de recibir el tratamiento génico; sin embargo, ningún paciente presentó episodios hemorrágicos ni requirió perfusiones de factor IX por ningún motivo.

Cabe destacar que ningún paciente había sufrido respuesta adversa alguna asociada a terapias génicas similares en el pasado.

Aunque 2 pacientes en este estudio experimentaron una respuesta inmunitaria leve, esta fue fácilmente controlada con esteroides.

Todos los pacientes refirieron mejora de su calidad de vida y continuaron siendo visitados por los investigadores, que están preparando un ensayo de fase 3 con muestra de gran tamaño junto con la FDA. Presentaron los resultados de este estudio en el Congreso anual de la American Society of Hematology en diciembre.

Fuente: Children's Hospital of Philadelphia. After gene therapy, hemophilia B patients maintain near-normal levels of clotting factor. News release. December 3, 2016. Spark Therapeutics and Pfizer present updated preliminary data from hemophilia B Phase 1/2 trial suggesting consistent and sustained levels of factor IX activity at annual ASH meeting. *Globe Newswire.* December 3, 2016.

ENFERMEDAD DE PARKINSON

Un fármaco inhalado puede ser la solución a la fase de desconexión

Una nueva fórmula de levodopa en polvo por vía inhalatoria, el CVT-301, podría contribuir al control de síntomas en pacientes con enfermedad de Parkinson en tratamiento con levodopa oral que sufren fases de fluctuación motora o episodios de desconexión. Aproximadamente, unos 350 000 de un millón de estadounidenses que sufren esta enfermedad refieren tener este tipo de episodios.

La levodopa por vía oral es rápidamente decarboxilada a dopamina en el tejido extracerebral, por lo que solo una pequeña parte de la dosis administrada llega íntegra al sistema nervioso central¹. La carbidopa es un inhibidor de la decarboxilasa que impide que la levodopa pierda su integridad antes de llegar al cerebro.

Los investigadores estudiaron el efecto del CVT-301 en 18 pacientes sin enfermedad de Parkinson y 24 pacientes con esta enfermedad en tratamiento con levodopa oral, que referían al menos 2 horas de fase *off* al día. En las 18 personas sanas se observaron resultados análogos entre la inhalación de CVT-301 y la carbidopa oral.

Entre los 24 pacientes con Parkinson, el 77% mostró un aumento de los niveles séricos de levodopa en los 10 minutos siguientes a la inhalación del CVT-301 durante la fase *off*, comparado con un 27% tratados con levodopa/carbidopa oral. El efecto secundario más común fue la tos ligera o moderada, que se resolvió rápidamente en todos los casos. ■

BIBLIOGRAFÍA

1. Merck & Co., Inc. Sinemet (carbidopa levodopa). 2014. https://www.merck.com/product/usa/pi_circulars/s/sinemet/sinemet_pi.pdf

Fuentes: Lipp MM, Batycky R, Moore J, Leinonen M, Freed MI. Preclinical and clinical assessment of inhaled levodopa for OFF episodes in Parkinson's disease. *Sci Transl Med.* 2016;8(360): 360ra136. Inhaled version of Parkinson's drug may help keep symptoms at bay. *HealthDay News.* October 12, 2016.