



## 17787 - DEXAMETASONA INTRAERITROCITARIA COMO TRATAMIENTO DE LA ATAXIA TELANGIECTASIA: EVOLUCIÓN DE UNA SERIE DE 11 CASOS

García Romero, M.D.M.<sup>1</sup>; de Paz Arias, R.<sup>2</sup>; López Sobrino, G.<sup>1</sup>; Caballero Caballero, J.M.<sup>1</sup>; Rodríguez Sánchez, C.<sup>1</sup>; Fernández-Cuesta Peñafiel, J.<sup>1</sup>; Pascual Pascual, S.I.<sup>1</sup>

<sup>1</sup>Servicio de Neurología. Hospital Universitario La Paz; <sup>2</sup>Servicio de Hematología. Hospital Universitario La Paz.

### Resumen

**Objetivos:** Evaluar el efecto de la EDS (dexametasona intraeritrocitaria) en la mejoría de los síntomas neurológicos de los pacientes con AT (ataxia telangiectasia). La dexametasona sodio fosfato es incluida en los eritrocitos del paciente provenientes de 50 cc de su sangre que ha sido procesada ex vivo con una solución hipotónica que permite la apertura del poro y la inclusión del fármaco.

**Material y métodos:** En el contexto del ensayo clínico fase 3 IEDAT-02-2015, y su extensión IEDAT-03-2018, se incluyeron aquellos pacientes con AT de 6 años de edad o más y capacidad de caminar al menos con apoyo intermitente. Fueron tratados con EDS cada 3-4 semanas, mediante infusión intravenosa hospitalaria. La variable principal de medición de eficacia fueron los cambios en la escala ICARS (International Cooperative Ataxia Rating Scale).

**Resultados:** Se reclutaron 11 pacientes con edades de 6,1 a 16,7 años. Recibieron una media de 59 infusiones (42-75). El tiempo de tratamiento medio fue muy largo, de 4,1 años (2,7-5,1). La diferencia entre la puntuación en la escala ICARS final vs. inicial fue de +9 puntos (de -1 a +22 puntos), mejorando en 1 paciente, manteniéndose estable en 1 paciente, y empeorando muy lentamente en 9 pacientes, menos que en su evolución natural. Los efectos adversos relevantes fueron feropenia y prurito breve, durante la infusión, sin efectos corticoideos, como hipocortisolismo ni osteopenia.

**Conclusión:** El tratamiento con EDS permite retrasar el deterioro neurológico en pacientes con AT, mejorando incluso en algunos de ellos. Es seguro y evita el efecto adverso del tratamiento corticoideo crónico.