



# Caso clínico pediátrico: Evaluación de la efectividad del eculizumab en el tratamiento del síndrome hemolítico urémico atípico.

*Elena Elvira Ladrón de Guevara, Belén Sánchez Rodríguez, Eduardo Tejedor Tejada, Diego Gámez Torres, Susana Cifuentes Cabello, Misael Rodríguez Goicoechea.*

**Introducción:** El Síndrome Hemolítico Urémico atípico (SHUa) es una anemia hemolítica microangiopática que afecta fundamentalmente al riñón. Es una enfermedad Ultra-Rara, crónica y potencialmente mortal que afecta a <1 persona/1.000.000 habitantes.

**Objetivos:** Evaluar la eficacia del eculizumab en síndrome urémico hemolítico atípico (SHUa) en una paciente pediátrica a largo plazo.



**Palabras claves:** SHUa, pediatría, eculizumab.

**Material y métodos:** Estudio observacional retrospectivo de una paciente pediátrica con SHUa en tratamiento con eculizumab. Variables recogidas: Creatinina sérica (Cr<sub>s</sub>), filtrado glomerular (FG), plaquetas, hemoglobina (Hb), haptoglobina, LDH y reticulocitos en el momento previo a la administración de eculizumab, a los 3,6,12 meses y en momento actual (60 meses), situación clínica, actividad ADAMTS 13 y estudio genético.

**Resultados:** Lactante de 13 meses con un deterioro renal, anemia, trombopenia y hemólisis. Se le realiza un estudio genético para el diagnóstico diferencial entre microangiopatía trombótica (MAT) secundaria y SHUa. Se diagnosticada de SHUa con un ADAMTS 13 56% con gen afectado CFH (factor H del complemento) que provoca déficit del mismo.

	Antes de la administración de Eculizumab	3 meses	6 meses	12 meses	60 meses
Cr <sub>s</sub> (mg/dL)	2,5	2,74	2,49	1,78	3,37
FG (mL/min/m <sup>2</sup> )	30,59	27,38	30,74	45,8	31,72
Plaquetas/ $\mu$ L	77x10 <sup>3</sup>	288x10 <sup>3</sup>	273x10 <sup>3</sup>	345x10 <sup>3</sup>	299x10 <sup>3</sup>
Hb (g/dL)	9,99	12,4	11,7	14,1	13,1
Haptoglobina (mg/dL)	149,2	105	82	83	
LDH (U/L)	647		561	635	



Administración: Eculizumab 300 mg semanal durante dos semanas, y posteriormente Eculizumab 300 mg/dos semanas.

Actualmente (60 meses), la paciente tiene 5 años y se encuentra en estudio de pretransplante renal y valoración de inicio de diálisis.

**Conclusión:** Eculizumab ha demostrado mejorar los parámetros hematológicos (plaquetas y Hb). La discreta mejoría de los parámetros renales (Cr, FG) durante el primer año de tratamiento ha permitido aumentar el tiempo libre de progresión .

En la actualidad, los parámetros renales empeoran con respecto a los 12 meses provocando que la paciente se encuentre en estudio de pretransplante renal y valoración de inicio de diálisis.

