

**RESUMENES LIII JORNADAS DE INVESTIGACIÓN PEDIÁTRICA**

<b>Titulo</b>
<b>TRATAMIENTO DE RESCATE EN HEMOFILIA A CONGÉNITA CON INHIBIDORES. REPORTE DEL PRIMER CASO PEDIÁTRICO EN CHILE.</b>
<b>Autores/Filiación</b>
López F. <sup>1</sup> , Soto V. <sup>2</sup> , Cortez D. <sup>2</sup> <sup>1</sup> Universidad de Chile <sup>2</sup> Centro de Hemofilia. Hospital Roberto del Río
<b>Antecedentes</b>
Los inhibidores son actualmente la complicación más grave del tratamiento en pacientes con hemofilia, debido a la dificultad del tratamiento de sus hemorragias. El manejo de elección es la erradicación del inhibidor mediante la inducción de tolerancia inmunológica (ITI). Su éxito en Hemofilia A alcanza un 75%. Los que fracasan utilizan inmunosupresores como terapia de rescate con escasa respuesta y complicaciones conocidas.
<b>Objetivo</b>
Nuestro objetivo es mostrar el primer caso en Chile de rescate con Rituximab en un niño con Hemofilia A (HA) y fracaso a ITI.
<b>Métodos</b>
Se analiza el caso de un paciente de 11 años portador de HA severa diagnosticada al año de vida. Estudio genético reveló inversión intron 22. Inicia profilaxis a los 15 meses. 3 meses después, se pesquisa inhibidor de 1.240 UB (post 42 exp/día a FVIII). Inicia ITI a los 4 años, con título < 10UB. Se mantiene en ITI con lento descenso de títulos de UB, logrando negativización (<0.5UB) por 4 meses a los 3 años de inicio de ITI. Posteriormente presenta ascenso de títulos, pero con valor < 5 UB, interpretándose como respuesta parcial. En este escenario se mantiene por 1 año 9 meses, periodo en el cual se sometió a cirugía manejándose sólo con FVIII, al igual que sus eventos hemorrágicos intercurrentes. Estando en ITI, posterior a fractura de antebrazo, se elevan los títulos por sobre 10UB, sin descenso posterior y nula respuesta a FVIII. Se decide uso de Rituximab asociado a ITI, dado que el éxito de esta combinación alcanza un 53-57%, según los escasos reportes. Se administra Rituximab 375 mg/m <sup>2</sup> , 1 v/sem x 4 sem, sin suspender ITI. Se midieron los niveles de Igs, LB y títulos de inhibidor antes y después del uso de rituximab.
<b>Resultados</b>
Al iniciar el Rituximab, los títulos del inhibidor eran de 26,6 UB, con LB CD 19/20 e Igs normales. Una semana después de finalizar el tratamiento se mide nuevamente los parámetros evidenciándose una caída del título a 0 UB, los que se mantienen hasta hoy. Los niveles de Igs persisten en rango normal para la edad y sin incremento de LB
<b>Conclusiones</b>
El rituximab asociado a FVIII puede ser útil para disminuir o erradicar los inhibidores en pacientes con HA severa resistentes a esquema de primera línea de ITI. Se necesitan más estudios y seguimiento a largo plazo sobre el uso de rituximab en el contexto de pacientes con hemofilia congénita e inhibidores.