

Experiencia clínica con luspatercept en un centro: análisis de eficacia y tolerancia.

María José García-Rodríguez¹, Felipe Palacios¹, Vicente Sandoval¹, Mauricio Sarmiento¹, Yorman Flores¹, Patricio Rojas¹, Max Vergara¹, Javier Díaz¹, Mauricio Ocqueteau¹

1. Médico Hematólogo, Servicio de Hematología, Red de Salud UC Christus

INTRODUCCIÓN:

Los síndromes mielodisplásicos (SMD) son un grupo heterogéneo de neoplasias caracterizados por una hematopoyesis ineficaz, citopenias en grado variable y riesgo de progresión a leucemia mieloide aguda. La anemia es la manifestación clínica más frecuente, con impacto negativo en la calidad de vida de nuestros pacientes que ven limitada su capacidad funcional, requiriendo en muchas ocasiones soporte transfusional periódico. El luspatercept es un agente modificador de la eritropoyesis, actúa favoreciendo la maduración eritroide mediante la modulación de la vía TGF- β y ha sido aprobado en Chile para el tratamiento de la anemia en pacientes con SMD de muy bajo a riesgo intermedio con dependencia transfusional.

OBJETIVO:

Evaluar la eficacia y tolerabilidad de luspatercept en nueve pacientes con SMD de muy bajo a riesgo intermedio con dependencia transfusional que fueron tratados en nuestra institución desde febrero de 2024 hasta julio de 2025.

METODOLOGÍA:

Se revisó en forma retrospectiva las fichas clínicas de nueve pacientes, recogiendo los datos de edad, IPSS-R, tiempo desde el diagnóstico hasta el inicio de luspatercept, líneas de tratamiento previas, niveles de hemoglobina pre y post inicio, dosis actual y principales efectos secundarios. Se evaluó la eficacia del tratamiento midiendo la disminución del requerimiento transfusional y el incremento del nivel de hemoglobina.

RESULTADOS:

La mediana de edad al diagnóstico fue de 76 años (rango 58-95), todos los pacientes tenían ISRR-R \geq 3.5. La mediana de tiempo hasta el inicio de luspatercept fue de 39 meses (rango 2-92) con una mediana de líneas previas de tratamiento de 2 (rango 1-3). Todos los pacientes habían recibido eritropoyetina y todos eran dependientes de transfusiones al inicio de luspatercept, con una mediana de 2 unidades de glóbulos rojos al mes (rango 2-8). La mediana de duración del tratamiento fue de 8 meses (rango 1-18). El 33% de nuestros pacientes alcanzó independencia transfusional. Un paciente abandonó tratamiento por falta de respuesta a dosis inicial e imposibilidad de escalar por motivos económicos, cuatro siguen precisando transfusiones, pero con menor frecuencia, y otro se mantiene sin cambios. El incremento promedio de hemoglobina fue 1.37g/dl (rango 0-4.7). El 45% de nuestros pacientes está con la dosis máxima de 1.75mg/m²/21d (rango 0.8-1.75). Los efectos adversos más frecuentes fueron astenia, molestias gastrointestinales y elevación de pruebas hepáticas, no siendo necesario ajuste de dosis por estos motivos.

CONCLUSIÓN:

Luspatercept es un fármaco fácil de administrar, bien tolerado y eficaz para el tratamiento de los pacientes con SMD. Si bien nuestra serie es pequeña, nuestros resultados son similares a lo publicado en la literatura, con un 78% de pacientes que disminuyen su requerimiento transfusional y un 33% que alcanza independencia, mejorando de forma considerable su calidad y expectativa de vida.