

Reporte Multicéntrico sobre el Trasplante de Células Madre Hematopoyéticas en Pacientes con Trisomía 21 y Leucemias Agudas en Chile, del 2000–2024

Isabel Villalobos-Ruiz¹, Cristian Sotomayor-Fahrenkrog¹, María Angélica Wietstruck-Peña¹, Pamela Zúñiga-Contreras¹, Paula Catalán-Martínez², Magdalena Cerda-Pérez², Nicolás Rojas-del Río³, Claudio Mosso-Chamorro⁴

1. 1. Unidad de Oncología Pediátrica y Trasplante de Células Madre Hematopoyéticas, Red UC Christus, Pontificia Universidad Católica de Santiago, Chile, 2. 2. Unidad de Oncología Pediátrica y Trasplante de Células Madre Hematopoyéticas, Hospital Luis Calvo Mackenna, Santiago, Chile, 3. 3. Unidad de Oncología Pediátrica y Trasplante de Células Madre Hematopoyéticas, Clínica Dávila, Santiago, Chile, 4. 4. Unidad de Oncología Pediátrica y Trasplante de Células Madre Hematopoyéticas, Clínica Santa María, Santiago, Chile

INTRODUCCIÓN:

Los niños con síndrome de Down (SD) tienen un mayor riesgo de desarrollar leucemias agudas, tanto mieloide (LMA) como linfoblástica (LLA). Estos presentan un peor pronóstico debido a una mayor probabilidad de toxicidad asociada a la quimioterapia y recaídas. El trasplante de células madre hematopoyéticas (TCMH) es el tratamiento de elección en leucemias de alto riesgo o recaídas, aunque conlleva una toxicidad significativa y resultados adversos en pacientes con SD. Por lo tanto, el uso de TCMH en pacientes con SD sigue siendo controversial, especialmente en contextos con recursos limitados.

OBJETIVO:

Reportar las características clínicas y los resultados de pacientes con SD y LLA o LMA que recibieron TCMH en Chile.

MATERIALES Y MÉTODOS:

Análisis retrospectivo de pacientes con SD menores de 18 años que recibieron TCMH por LLA o LMA refractaria, en recaída o de alto riesgo, en los cuatro centros pediátricos de TCMH en Chile entre enero de 2000 y julio de 2024.

RESULTADOS:

Diecisiete pacientes con SD recibieron un TCMH durante el período de estudio. La mediana de edad al momento del trasplante fue de 6.3 años (rango 1.7–17.2 años); 7 eran mujeres. Siete pacientes tenían LMA (cuatro en remisión completa [RC] 1, dos en RC2 y uno sin remisión) y 10 tenían LLA (cinco en RC1, cuatro en RC2 y uno en RC3). Todos recibieron regímenes de acondicionamiento mieloablativo a dosis completas. Las fuentes de donantes fueron variables (4 donantes hermanos, 6 donantes no emparentados, 3 unidades de sangre de cordón, 4 haploidénticos). La mediana de seguimiento fue de 1.9 años (rango 0.5–23 años).

CINCO PACIENTES FALLECIERON:

dos por recaída y tres por mortalidad relacionada al trasplante (infección por mucormicosis, falla multiorgánica, EICH crónica). La supervivencia libre de eventos y la supervivencia global al primer año fue del 76%, y a los tres años fue del 69%. La enfermedad injerto contra huésped aguda (EICHa) ocurrió en 10 pacientes (Grado I-II en 6, Grado III-IV en 4), y la EICH crónica (EICHc) se reportó en 7 casos (moderada en 1, severa en 3).

CONCLUSIONES:

Hasta donde sabemos, este es el primer informe sobre TCMH en niños con SD en América Latina. Los pacientes con SD tienen un alto riesgo de complicaciones tóxicas posteriores al TCMH. Sin embargo, nuestros hallazgos demuestran que el TCMH sigue siendo una opción terapéutica válida y no está contraindicado en pacientes con Trisomía 21, incluso en países con recursos limitados. Se requieren más estudios colaborativos para identificar mejor los factores de riesgo e intervenciones potenciales que puedan mejorar los resultados en esta población vulnerable.