



## EM-006 - SIRÓLIMUS EN MALFORMACIONES VASCULARES ARTERIOVENOSAS

S. Castañeda Pérez, S. Moragón Ledesma, M.T. Pérez Sanz, F. Galeano Valle, P. Demelo Rodríguez, J. del Toro Cervera y C. Muñoz Delgado

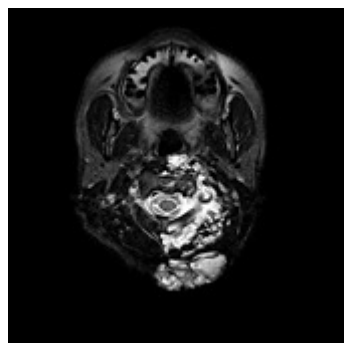
Medicina Interna-Consulta de Enfermedades Raras. Hospital General Universitario Gregorio Marañón. Madrid.

### Resumen

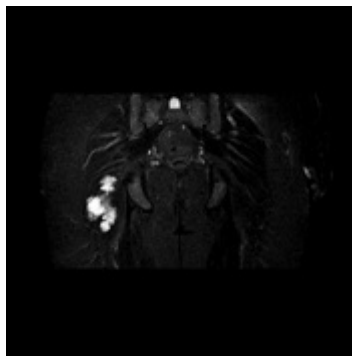
**Objetivos:** Presentación de una serie de casos de malformaciones vasculares (MAV) en tratamiento con sirólimus en la consulta de Enfermedades Minoritarias de un hospital de tercer nivel.

**Métodos:** Estudio descriptivo observacional a partir de la revisión de historias clínicas de pacientes adultos con malformaciones vasculares en tratamiento con sirólimus en nuestra consulta desde 2015.

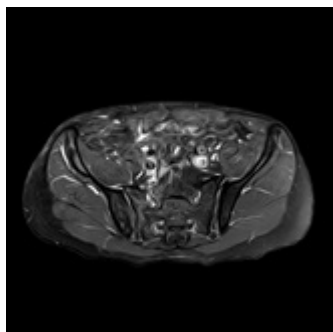
**Resultados:** Caso 1: mujer de 46 años con MAV cervical posterior izquierda (fig. 1). Clínica de dolor, tumefacción y cefalea. Mejoría clínico-radiológica tras inicio de sirólimus en julio/18. Efectos secundarios (EF) de pérdida de peso y somnolencia. Caso 2: mujer de 52 años con enfermedad de Blue Rubber con numerosas MAVs en tejidos blandos y tubo digestivo (fig. 2). Clínica de hemorragias digestivas con varios requerimientos transfusionales anuales. Mejoría clínica tras inicio de sirólimus desde enero/20. EF anemia leve e insomnio de conciliación. Caso 3: varón de 19 años con síndrome de Gorham Stout con malformación linfática extensa multicompartimental (fig. 3). Estabilidad clínico-radiológica de las lesiones desde inicio de sirólimus en 2011, sin EF. Caso 4: varón de 24 años con MAV compleja orbitaria derecha. Clínica de cefalea. Desde inicio del tratamiento en septiembre/15 presenta disminución radiológica de las lesiones, sin EF. Caso 5: Varón de 31 años con MAV orbitaria derecha. Clínica de cefalea, proptosis y diplopía. Inicia sirólimus en enero/20, sin EF.



**Figura 1.**



**Figura 2.**



**Figura 3.**

*Discusión:* Las MAV son una causa conocida de dolor crónico e impotencia funcional, con tratamientos clásicos como la cirugía o la escleroterapia raramente efectivos. Ensayos clínicos recientes desvelan la eficacia de sirólimus para controlar su progresión inhibiendo mTOR. Como EF más frecuentes destacan cefalea, rash, mucositis, fatiga, diarrea y toxicidad medular. En nuestra serie todos los pacientes presentaron buena respuesta clínica al tratamiento, sin la aparición de EF graves.

*Conclusiones:* Nuestro estudio concuerda con los recientes ensayos clínicos en que sirólimus es un tratamiento eficaz, seguro y bien tolerado en malformaciones vasculares y linfáticas.

### **Bibliografía**

1. Hammer J, Seront E, Duez S, et al. Sirolimus is efficacious in treatment for extensive and/or complex slow- flow vascular malformations: a monocentric prospective phase II study. *Orphanet J Rare Dis.* 2018;13:191.