



## V-224 - PROGRAMA DE TERAPIA DOMICILIARIA PARA LA ENFERMEDAD DE GAUCHER EN ESPAÑA. PRIMERA EXPERIENCIA NACIONAL

D. Vicente Navarro<sup>1</sup>, C. Mora Val<sup>1</sup>, J. Perpiñán Hernández<sup>2</sup>, X. Solanich Moreno<sup>3</sup>, C. Sanzo Lombardero<sup>4</sup>, A. Luaña Galán<sup>5</sup>, M. López Dupla<sup>6</sup> y V. Giner Galvañ<sup>1</sup>

<sup>1</sup>Unidad de Enfermedades Minoritarias. Medicina Interna. Hospital Virgen de los Lirios. Alcoy (Alicante).

<sup>2</sup>Medicina Interna. Hospital Universitario de La Ribera. Alzira (Valencia). <sup>3</sup>Medicina Interna. Hospital Universitari de Bellvitge. L&#39;Hospital de Llobregat (Barcelona). <sup>4</sup>Hematología. Hospital General de Asturias. Oviedo (Asturias) <sup>5</sup>Hematología. Hospital Arnau de Vilanova. Lleida. <sup>6</sup>Hematología. Hospital Joan XXIII. Tarragona.

### Resumen

**Objetivos:** Describir la experiencia del primer programa nacional de terapia domiciliaria en España para la administración del tratamiento enzimático en pacientes con la enfermedad de Gaucher (EG).

**Material y métodos:** Estudio descriptivo del programa inicial de terapia domiciliaria en España hasta septiembre de 2016 (cerca de 2 años de experiencia)

**Resultados:** 11 pacientes de 9 hospitales fueron incluidos en el programa. Pertenecen a 6 regiones distintas, la mayoría en la parte Este del país: 4 en la Comunidad Valenciana, 3 Cataluña y 1 en Murcia, Islas Baleares y Asturias. Los médicos responsables de estos pacientes son principalmente hematólogos (63%), siendo el 36% de pacientes restantes controlados por internistas. Exceptuando al Hospital de Alcoy (310 camas) y de Alzira (301 camas), con 2 pacientes cada uno, el resto de centros participantes incluyeron 1 paciente cada uno en el programa. El tamaño de los centros participantes determinado por el número de camas es muy heterogéneo, con una mediana (rango) de 331 (177-1,324) camas/hospital. No hubo relación entre el tamaño del hospital y el número de pacientes incluidos. 81,8% de los hospitales también tenía pacientes con enfermedad de Fabry incluidos en el programa de terapia domiciliaria, principalmente aquellos pertenecientes a la Comunidad Valenciana. No hubo ningún efecto secundario relacionado con las infusiones y ningún paciente inicialmente incluido abandonó el programa.

**Conclusiones:** La experiencia inicial en el programa de terapia domiciliaria para el tratamiento de la enfermedad de Gaucher está demostrando que es una buena opción ya que no se ha comunicado ningún efecto secundario en relación a las infusiones y todos los pacientes han permanecido estables de su enfermedad. La conveniencia de la implementación del programa está ilustrada por la permanencia de todos los pacientes inicialmente incluidos en el mismo y sus opiniones personales. Es también notable la elevada heterogeneidad en la participación por regiones, así como, en el tipo de hospitales participantes.