

VISMODEGIB EN UN PACIENTE CON SÍNDROME DE GORLIN GOLTZ. A PROPÓSITO DE UN CASO



González González MA¹, Ferreras López N¹, Matilla Fernández B¹, Nieto Mangudo B², Ortiz de Urbina González J.J¹

¹Servicio de Farmacia Hospitalaria. Complejo Asistencial Universitario de León

²Servicio de Oncología Médica. Complejo Asistencial Universitario de León

RESUMEN

El Síndrome de Gorlin Goltz (SGG) está causado por la mutación del gen Patched, un gen supresor de tumor localizado en el cromosoma 9 (9q22, 3-q31) e implicado en la ruta de señalización Hedgehog (Hh). Las consecuencias clínicas de esta alteración van a estar directamente relacionadas con la producción de carcinomas basocelulares (CBCs) y la alteración del desarrollo normal de los tejidos. Vismodegib es un fármaco de administración oral que inhibe selectivamente la ruta de señalización Hh al bloquear la activación del receptor transmembrana -7 Smoot-hened. Este fármaco está aprobado para el tratamiento de pacientes adultos con CBC metastásico sintomático o CBC localmente avanzado y no candidatos a cirugía o radioterapia.

OBJETIVOS

Evaluación de la efectividad y seguridad de vismodegib en un paciente con CBCs causados por el SGG.

MATERIAL Y MÉTODOS

Seguimiento de un paciente tratado con vismodegib a causa de múltiples CBCs. Se revisaron las líneas de tratamiento previas, el tamaño y número de los CBCs, la idoneidad del uso de vismodegib en pacientes con SGG y los efectos adversos presentados. Se realizó una minuciosa búsqueda bibliográfica y un seguimiento de la historia clínica del paciente.

RESULTADOS

Paciente de 62 años diagnosticado de SGG a los 22 años. El paciente presentó múltiples CBCs desde la juventud controlados mediante numerosas intervenciones quirúrgicas, 5-fluoruracilo tópico, imiquimod, retinoides y terapia fotodinámica.

En 2016, ante la imposibilidad de someter al paciente a nuevas exéresis debido al gran número y extensión de los CBCs se comienza tratamiento con vismodegib 150 mg cada 24 horas con controles mensuales tanto de sus valores analíticos como de la situación general del paciente. La efectividad del tratamiento ha sido significativa desde el segundo mes de tratamiento (con reducción de CBCs > 30%).

Durante los 13 meses de tratamiento con vismodegib, el paciente ha presentado como reacciones adversas dolores articulares y cansancio generalizado durante todo el tratamiento y, un aumento de los valores de las enzimas hepáticas grado 1-2 (según la versión 4.03 de "Terminología de los Criterios Comunes para Eventos Adversos, CTCAE) a los dos meses del inicio que condicionaron la suspensión durante 10 días.

A los 10 meses de iniciar el tratamiento, como consecuencia de los efectos adversos y ante la solicitud del paciente, se realiza un descanso terapéutico de 2 meses reiniciándose de nuevo por riesgo de recaída.

CONCLUSIONES

Pese a que nos encontramos ante un síndrome de muy baja incidencia y con escasos estudios en cuanto a tratamientos disponibles, vismodegib ha hecho posible una disminución importante de los CBCs. Respecto a la duración del tratamiento, el estudio pivotal ERIVANCE presentaba una mediana de duración de tratamiento de 9,6 meses habiendo sido superada en nuestro caso.

Todos los efectos adversos presentados estaban descritos en ficha técnica, destacando el cansancio y dolor articular que han condicionado el descanso terapéutico. Actualmente no se dispone de suficientes estudios que avalen la posibilidad de suspensiones temporales más prolongadas a las realizadas en nuestro paciente.