

Prólogo del suplemento Enfermedad de Gaucher

Drelichman G¹.

¹Hospital de Niños "Ricardo Gutiérrez" CABA, Argentina

drgdrelichman@yahoo.com.ar

fecha de recepción: 18/11/2015
fecha de aprobación: 4/12/2015



ARTÍCULO
ORIGINAL

HEMATOLOGÍA: 3
Suplemento: Enfermedad de Gaucher
Diciembre 2015

En octubre de 2006 se creó el Grupo Argentino de Diagnóstico y Tratamiento de la Enfermedad de Gaucher (EG) siendo sus principales objetivos los de difundir la enfermedad, realizar un consenso nacional y estimular el ingreso de pacientes al registro internacional de EG. En el mismo año publicamos el primer consenso sobre el manejo y tratamiento de la EG siendo de gran importancia para la región por haber sido el primero realizado en Latinoamérica. Posteriormente el consenso fue actualizado en el año 2013. En la actualidad, dado los continuos avances en el manejo y tratamiento de la enfermedad decidimos actualizar nuevamente nuestro consenso.

Su publicación es una necesidad motivada por el avance en el conocimiento y por las dificultades que presenta para el hematólogo y demás miembros del equipo multidisciplinario, el manejo global de esta rara enfermedad. La guía brinda, para cada uno de los temas más importantes, la opinión de expertos nacionales. Además, son abordados nuevas problemáticas como la asociación de EG con cáncer y con enfermedad de Parkinson.

Con 20 años de experiencia, la terapia de reemplazo enzimática (TRE) es el tratamiento estándar que ha mejorado significativamente la calidad de vida de los pacientes con EG Tipo 1. En la actualidad están disponibles internacionalmente, aparte de la clásica TRE con imiglucerasa, nuevas TRE de uso endovenoso (EV) como velaglucerasa α , taliglucerasa α y un biosimilar de imiglucerasa (Abcertin®). Por otro lado, se encuentran drogas con diferente mecanismo de acción (terapias de reducción de sustrato) de uso oral, como el miglustat y el eliglustat. Todas estas nuevas terapias han ampliado las posibilidades terapéuticas de los pacientes con EG.

En Argentina hay aproximadamente 300 pacientes con enfermedad de Gaucher. Una de las principales dificultades para el manejo de los pacientes con EG es el diagnóstico temprano y que los pacientes tengan adherencia a la terapia

La actualización del Consenso sin duda se transformará en un apoyo científico importante para los todos los profesionales que atienden pacientes con EG a lo largo todo el territorio nacional.

Dr. Guillermo Drelichman