



**Biblioteca
Cochrane**

Base de Datos **Cochrane** de Revisiones Sistemáticas

Trasplante de células madre hematopoyéticas para la enfermedad de Gaucher (Revisión)

Somaraju UR, Tadepalli K

Somaraju UR, Tadepalli K.
Hematopoietic stem cell transplantation for Gaucher disease
(Trasplante de células madre hematopoyéticas para la enfermedad de Gaucher).
Cochrane Database of Systematic Reviews 2008, Issue 4. Art. No.: CD006974.
DOI: [10.1002/14651858.CD006974.pub2](https://doi.org/10.1002/14651858.CD006974.pub2).

www.cochranelibrary.com/es

[Revisión de intervención]

Trasplante de células madre hematopoyéticas para la enfermedad de Gaucher

Usha Rani Somaraju¹, Krishna Tadepalli²

¹Department of Biochemistry and Genetics, Trinity School of Medicine, Kingstown, Saint Vincent and The Grenadines. ²Department of Pathology, Trinity School of Medicine, Kingstown, Saint Vincent and The Grenadines

Dirección de contacto: Usha Rani Somaraju, Department of Biochemistry and Genetics, Trinity School of Medicine, Harmony Hall, Prospect, Kingstown, St.Vincent, P. O. Box 1669, Saint Vincent and The Grenadines. dr_usha_rani@yahoo.com.

Grupo Editorial: Grupo Cochrane de Fibrosis Quística y Enfermedades Genéticas.

Estado y fecha de publicación: Nueva búsqueda de estudios y actualización de contenidos (sin cambios en las conclusiones), publicada en el número 7, 2010.

Referencia: Somaraju UR, Tadepalli K. Hematopoietic stem cell transplantation for Gaucher disease (Trasplante de células madre hematopoyéticas para la enfermedad de Gaucher). *Cochrane Database of Systematic Reviews* 2008, Issue 4. Art. No.: CD006974. DOI: [10.1002/14651858.CD006974.pub2](https://doi.org/10.1002/14651858.CD006974.pub2).

Copyright © 2010 The Cochrane Collaboration. Publicada por John Wiley & Sons, Ltd.

RESUMEN

Antecedentes

La enfermedad de Gaucher es el trastorno de almacenamiento lisosómico más frecuente causado por una deficiencia de la enzima glucocerebrosidasa. El tratamiento actual de la enfermedad implica una elección entre el tratamiento enzimático sustitutivo, la terapia de reducción de sustrato y el trasplante de células madre. El trasplante de células madre es un procedimiento de alto riesgo con posibles beneficios a largo plazo en la regresión de las alteraciones óseas y neurológicas en personas con enfermedad de Gaucher.

Objetivos

Determinar la función del trasplante de células madre hematopoyéticas en personas con enfermedad de Gaucher en relación con: el riesgo de mortalidad asociado con el procedimiento; la eficacia de modificar el curso de la enfermedad; y el cese o la regresión de las manifestaciones neurológicas en formas neuropáticas (Tipos 2 y 3).

Métodos de búsqueda

Se realizaron búsquedas en el Registro de Ensayos de Errores Congénitos del Metabolismo del Grupo Cochrane de Fibrosis Quística (Cochrane Cystic Fibrosis and Genetic Disorders Group Inborn Errors of Metabolism Trials Register) que comprende referencias identificadas mediante búsquedas exhaustivas en bases de datos electrónicas y búsquedas manuales en revistas relevantes y en libros de resúmenes de congresos. También se hicieron búsquedas en los sitios web www.clinicaltrials.gov y www.genzymeclinicalresearch.com.

Fecha de la búsqueda más reciente en el registro de ensayos del grupo: junio 2008.

Criterios de selección

Todos los ensayos clínicos controlados, aleatorios y cuasialeatorios, que compararon el trasplante de células madre con el tratamiento enzimático sustitutivo, la terapia de reducción de sustrato, el tratamiento sintomático o ningún tratamiento en personas con enfermedad de Gaucher de todas las edades.

Obtención y análisis de los datos

Se evaluaron de forma independiente los ensayos para la inclusión, sin embargo, no se identificaron ensayos relevantes.

Resultados principales

Se identificaron ocho ensayos en la búsqueda inicial, sin embargo, estos ensayos no fueron adecuados para la inclusión en la revisión.

Conclusiones de los autores

El trasplante de células madre es una modalidad de tratamiento que ofrece la posibilidad de la cura definitiva. Sin embargo, ningún ensayo clínico evaluó la seguridad ni la eficacia del trasplante de células madre versus otras medidas conservadoras (tratamiento enzimático sustitutivo, terapia de reducción de sustrato) utilizadas en la actualidad.

RESUMEN EN TÉRMINOS SENCILLOS

La enfermedad de Gaucher es un trastorno hereditario causado por una deficiencia de la enzima glucocerebrosidasa. Esta deficiencia conduce al almacenamiento de lípidos complejos en ciertos tipos de células sanguíneas. Debido a estas células anormales, quienes padecen de enfermedad de Gaucher presentarán dolor, fatiga, anemia, ictericia y lesiones óseas. Algunos tipos de enfermedad de Gaucher también pueden causar trastornos neurológicos. En la actualidad, el principal tratamiento de la enfermedad de Gaucher es el tratamiento enzimático sustitutivo, que es costoso. En algunos casos graves, se utiliza el trasplante de células madre para tratar la enfermedad de Gaucher. Éste es un procedimiento de alto riesgo, que a veces conduce a la muerte del individuo. No se hallaron ensayos que revelen la efectividad y los riesgos del procedimiento en personas con enfermedad de Gaucher.