



**Biblioteca  
Cochrane**

Base de Datos **Cochrane** de Revisiones Sistemáticas

## Tratamiento con hormona del crecimiento para pacientes con talasemia (Revisión)

Ngim CF, Lai NM, Hong JYH, Tan SL, Ramadas A, Muthukumarasamy P, Thong MK

Ngim CF, Lai NM, Hong JYH, Tan SL, Ramadas A, Muthukumarasamy P, Thong MK.  
Growth hormone therapy for people with thalassaemia  
(Tratamiento con hormona del crecimiento para pacientes con talasemia).  
*Cochrane Database of Systematic Reviews* 2017, Issue 9. Art. No.: CD012284.  
DOI: [10.1002/14651858.CD012284.pub2](https://doi.org/10.1002/14651858.CD012284.pub2).

[www.cochranelibrary.com/es](http://www.cochranelibrary.com/es)

[Revisión de intervención]

# Tratamiento con hormona del crecimiento para pacientes con talasemia

Chin Fang Ngim<sup>1</sup>, Nai Ming Lai<sup>2</sup>, Janet YH Hong<sup>3</sup>, Shir Ley Tan<sup>4</sup>, Amutha Ramadas<sup>1</sup>, Premala Muthukumarasamy<sup>5</sup>, Meow-Keong Thong<sup>5</sup>

<sup>1</sup>Jeffrey Cheah School of Medicine and Health Sciences, Monash University Malaysia, Johor Bahru, Malaysia. <sup>2</sup>School of Medicine, Taylor's University, Subang Jaya, Malaysia. <sup>3</sup>Department of Paediatrics, Putrajaya Hospital, Putrajaya, Malaysia. <sup>4</sup>HPS Pharmacies, Calvary North Adelaide Hospital, Adelaide, Australia. <sup>5</sup>Department of Paediatrics, University of Malaya Medical Center, Kuala Lumpur, Malaysia

**Dirección de contacto:** Chin Fang Ngim, Jeffrey Cheah School of Medicine and Health Sciences, Monash University Malaysia, Johor Bahru, Malaysia. [ngim.chin.fang@monash.edu](mailto:ngim.chin.fang@monash.edu).

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

**Estado y fecha de publicación:** Editada (sin cambios en las conclusiones), publicada en el número 1, 2019.

**Referencia:** Ngim CF, Lai NM, Hong JYH, Tan SL, Ramadas A, Muthukumarasamy P, Thong MK. Growth hormone therapy for people with thalassaemia (Tratamiento con hormona del crecimiento para pacientes con talasemia). *Cochrane Database of Systematic Reviews* 2017, Issue 9. Art. No.: CD012284. DOI: [10.1002/14651858.CD012284.pub2](https://doi.org/10.1002/14651858.CD012284.pub2).

Copyright © 2019 The Cochrane Collaboration. Publicada por John Wiley & Sons, Ltd.

## RESUMEN

### Antecedentes

La talasemia es un trastorno hematológico hereditario recesivo que provoca anemia de diferentes intensidades. En los afectados por las modalidades más graves, se requieren transfusiones de sangre regulares que pueden provocar sobrecarga de hierro. El hierro acumulado a partir de las transfusiones de sangre se puede depositar en los órganos vitales como el corazón, el hígado y los órganos endocrinos como la hipófisis, y puede afectar la producción de hormona del crecimiento. La deficiencia de hormona del crecimiento es uno de los factores que puede ocasionar baja estatura, una complicación frecuente en los pacientes con talasemia. El tratamiento sustitutivo de la hormona del crecimiento se utilizó en niños con talasemia que tienen baja estatura y deficiencia de hormona del crecimiento.

### Objetivos

Evaluar los beneficios y la seguridad del tratamiento con hormona del crecimiento en pacientes con talasemia.

### Métodos de búsqueda

Se realizaron búsquedas en el registro de ensayos del Grupo Cochrane de Hemoglobinopatías (Cochrane Haemoglobinopathies Trials Register), compilado a partir de búsquedas en bases de datos electrónicas y búsquedas manuales en revistas y libros de resúmenes de congresos. También se hicieron búsquedas en las listas de referencias de los artículos relevantes, revisiones y registros de ensayos clínicos. La base de datos y las búsquedas en el registro de ensayos están actualizadas hasta el 10 agosto 2017 y el 8 agosto 2017, respectivamente.

### Criterios de selección

Ensayos controlados aleatorios y cuasialeatorios que compararon el tratamiento con hormona del crecimiento con placebo o con la atención habitual en pacientes con talasemia de cualquier tipo o gravedad.

### Obtención y análisis de los datos

Dos autores de la revisión, de forma independiente, seleccionaron los ensayos para la inclusión. La extracción de datos y la evaluación del riesgo de sesgo fueron realizadas de forma independiente por dos autores de la revisión. La calidad de la evidencia se evaluó mediante los criterios GRADE.

### Resultados principales

Se incluyó un ensayo paralelo realizado en Turquía. El ensayo incluyó a 20 niños con talasemia beta homocigota con baja estatura; 10 niños se trataron con hormona del crecimiento subcutánea administrada todos los días en una dosis de 0,7 UI/kg por semana y 10 niños

**Tratamiento con hormona del crecimiento para pacientes con talasemia (Revisión)**

**1**

Copyright © 2019 The Cochrane Collaboration. Publicada por John Wiley & Sons, Ltd.

recibieron atención habitual. El riesgo de sesgo global en este ensayo fue bajo, excepto los criterios de selección y el sesgo de desgaste que eran inciertos. La calidad de la evidencia de los resultados principales fue moderada, la preocupación principal fue la imprecisión de las estimaciones debido al tamaño pequeño de la muestra que se tradujo en intervalos de confianza amplios. El ensayo incluido no evaluó la estatura final (cm) (la medida de resultado primaria preestablecida por la revisión) ni el cambio en la estatura. El ensayo no informó diferencias claras entre los grupos en la puntuación de la desviación estándar (SD) de la estatura después de un año, diferencia de medias [DM] -0,09; intervalo de confianza [IC] del 95%: -0,33 a 0,15 (pruebas de calidad moderada). Sin embargo, al parecer se observaron mejorías modestas en los siguientes resultados clave en los niños tratados con hormona del crecimiento en comparación con el control (pruebas de calidad moderada): cambio entre el momento inicial y la visita final en la puntuación de la SD de estatura, DM 0,26 (IC del 95%: 0,13 a 0,39); velocidad de aumento de la estatura, DM 2,28 cm/año (IC del 95%: 1,76 a 2,80); puntuación de la SD de la velocidad de aumento de la estatura, DM 3,31 (IC del 95%: 2,43 a 4,19); y el cambio en la puntuación de la SD de la velocidad de aumento de la estatura entre la visita inicial y final, DM 3,41 (IC del 95%: 2,45 a 4,37). No se informaron efectos adversos del tratamiento en ninguno de los grupos; sin embargo, si bien no hubo diferencias evidentes entre los grupos en la prueba oral de sobrecarga de glucosa al año, la glucemia en ayunas fue significativamente mayor en el grupo tratado con hormona del crecimiento en comparación con el control, aunque ambos resultados se hallaban dentro del rango normal, DM 6,67 mg/dL (IC del 95%: 2,66 a 10,68). No hubo datos, excepto el periodo de ensayo de un año.

### Conclusiones de los autores

Un único ensayo pequeño aportó evidencia de calidad moderada que afirmaba que la administración de hormona del crecimiento durante un año puede mejorar la velocidad de crecimiento en estatura de los niños con talasemia, aunque la puntuación de SD de estatura en el grupo de tratamiento fue similar a la del grupo de control. No hay ensayos controlados aleatorios en adultos ni ensayos que aborden la administración de tratamiento con hormona del crecimiento en un periodo más prolongado y que evalúe el efecto en la estatura final y la calidad de vida. La dosificación óptima de hormona del crecimiento y el tiempo ideal para comenzar este tratamiento siguen siendo inciertos. Se necesitan ensayos controlados aleatorios bien diseñados, con una duración más prolongada y con una duración suficiente del seguimiento.

## RESUMEN EN TÉRMINOS SENCILLOS

### Tratamiento con hormona del crecimiento para pacientes con talasemia

#### Pregunta de la revisión

Se revisó la evidencia sobre el efecto del tratamiento de pacientes con talasemia con hormonas del crecimiento.

#### Antecedentes

La talasemia es un trastorno hematológico hereditario que provoca anemia de diferentes intensidades. Los pacientes que padecen las modalidades más graves de talasemia requieren transfusiones de sangre regulares a partir de la primera infancia, con las cuales se va acumulando un exceso de hierro en órganos vitales como el corazón, el hígado y las glándulas hormonales (glándulas endocrinas). Una de las glándulas en riesgo es la hipófisis que segrega la hormona del crecimiento, que a su vez regula el crecimiento y el funcionamiento del cuerpo humano. Si la producción de hormona del crecimiento se interrumpe por el depósito de hierro, es posible que los niños afectados no sean muy altos.

La baja estatura es muy frecuente entre los pacientes con talasemia. Puede ser causada por varios factores como los trastornos de la hormona del crecimiento o de otras hormonas, una cantidad insuficiente de transfusiones de sangre o una nutrición deficiente. La hormona del crecimiento sintética es una modalidad de tratamiento de la baja estatura en la talasemia, especialmente en niños con defectos en la producción de hormona del crecimiento. En general, esto suele incluir una inyección de hormona del crecimiento bajo la piel (subcutánea) varios días de la semana en un periodo de tiempo. Sin embargo, no queda claro si la administración de hormona del crecimiento sintética proporciona algún beneficio claro o consistente para los pacientes con talasemia.

#### Fecha de la búsqueda

La evidencia está actualizada hasta el 8 de agosto de 2017.

#### Características de los estudios

Se encontró sólo un ensayo pequeño para la revisión. El ensayo incluyó a 20 niños con talasemia beta cuyas estaturas eran considerablemente más bajas que las estimadas por los gráficos de crecimiento. Se eligieron al azar a 10 de los niños para que reciban tratamiento diario con hormona del crecimiento aparte del tratamiento habitual (estándar) y los 10 niños restantes solo recibieron el tratamiento habitual. Los investigadores registraron la estatura de los niños y realizaron análisis de sangre cada tres meses. El ensayo se realizó en el transcurso de un año.

#### Resultados clave

La velocidad de crecimiento en estatura es la tasa de aumento de la estatura de un niño y se calcula midiendo la diferencia en la estatura a lo largo de un periodo de tiempo (por lo general en cm por año). En esta revisión, los niños tratados con hormona del crecimiento durante

un año tuvieron una velocidad de crecimiento en estatura mayor (en promedio 2,28 cm más por año) en comparación con quienes no se trataron con hormona del crecimiento. En otras palabras, quienes se trataron con hormona del crecimiento tuvieron un crecimiento modestamente mayor que quienes no se trataron con hormona del crecimiento. La estatura de un niño también podrá calificarse en función de los gráficos estándar de la población (puntuaciones de desviación estándar de la estatura). Con esta medición, los niños tratados con hormona del crecimiento tuvieron puntuaciones similares a las de los niños sin hormona del crecimiento al final del periodo de un año. Ninguno de los 20 niños sufrió efectos secundarios. Si bien no hubo una diferencia evidente entre los grupos en la prueba oral de sobrecarga de glucosa al año, los niños tratados con hormona del crecimiento tuvieron mayores niveles de glucemia en ayunas, aunque los valores se hallaron dentro del rango normal. El ensayo no proporcionó información más allá del periodo de un año; por lo tanto, no se sabe si la estatura durante la adultez de los niños del ensayo se vio afectada de alguna manera por el tratamiento con hormona del crecimiento.

No hubo ensayos con pacientes con talasemia que evaluaran los efectos del tratamiento con hormona del crecimiento en un periodo más prolongado, con diferentes dosis o en diferentes grupos etarios; tampoco hubo ensayos que estudien el efecto del tratamiento con hormona del crecimiento en la estatura del adulto ni en el bienestar general (calidad de vida)

### **Calidad de la evidencia**

En términos generales, la calidad de la evidencia de los resultados descritos arriba (efectos secundarios y crecimiento a corto plazo) se consideró moderada; aunque la preocupación principal fue que solo se contó con una pequeña cantidad de participantes.

### **Conclusiones**

En función de la evidencia de calidad moderada de un ensayo pequeño, la administración de hormona del crecimiento puede producir una mejoría modesta en ciertas medidas del crecimiento. Sin embargo, no hubo información sobre la calidad de vida ni sobre la estatura final. Para establecer una conclusión más sólida de los riesgos y beneficios globales del tratamiento con hormona del crecimiento en pacientes con talasemia se necesitan más ensayos.