



**XXXIX
REUNIÓ ANUAL
SOCIETAT CATALANA
DE NEFROLOGIA**

26 i 27 de maig de 2023

Universitat Pompeu Fabra
Barcelona School of Management
Auditori, Edifici Balmes



RAVULIZUMAB "DE NOVO" EN PACIENTES PEDIÁTRICOS CON SÍNDROME HEMOLÍTICO UREMICO ATÍPICO (SHUA): PRIMEROS CASOS MUNDIALES

Pedro Arango Sancho; Ana Cristina Aguilar Rodríguez; Osmar David González; Marta Jiménez Moreno; Elena Codina Sampera; Bernat Gómez Herrera; Raquel Jiménez García; Yolanda Calzada Baños; Verónica Coll Brito; Álvaro Madrid Aris

Hospital Sant Joan de Déu

Objetivos. Ravulizumab es un inhibidor de C5 de acción prolongada que ha demostrado recientemente su eficacia para el control del síndrome urémico hemolítico en comparación con eculizumab comparado con eculizumab, permitiendo tiempos de infusión anuales medios (hasta un 70% menos). Todavía no hay evidencia en la literatura de tratamiento naïve con este fármaco en pediatría.

Métodos. Presentar los dos primeros casos pediátricos a nivel mundial utilizando Ravulizumab "de novo" (en el inicio de la enfermedad y post-trasplante renal)

Resultados. Niña de 13 años con historia de heces sanguinolentas, vómitos y compromiso de conciencia con MAT, AKI III evoluciona a anuria y episodio convulsivo que requiere bolos de corticoesteroides, 6 plasmaféresis y 4 hemodiálisis intermitentes. ADAMTS13 normal, Coombs directo negativo y complemento disminuido. Debido a la persistencia de la MAT y a la necesidad de tratamiento renal sustitutivo (TRS), se inició ravulizumab con una dosis de carga (2400 mg) y una segunda dosis al cabo de 2 semanas. Genética: delección CFHR3-CFHR1. Caso 2: Niña de 7 años en hemodiálisis crónica secundaria a SHUa (CD46) ingresó para trasplante renal de donante vivo. Riesgo inmunológico bajo-intermedio e infeccioso alto. Inducción: Basiliximab, tacrolimus, micofenolato y esteroides. El paciente ha tenido una evolución favorable de la función renal con creatinina normal al alta. El iPr/Cr en orina aumentó hasta un máximo de 8 mg/mg (DSA negativos). La biopsia renal se descartó debido a la disminución progresiva de proteinuria. Segunda dosis después de 2 semanas, permaneciendo estable sin datos de recurrencia de su enfermedad de base en la actualidad. **Conclusión.** Ravulizumab fue satisfactorio tanto en la fase aguda de la enfermedad como en el postrasplante inmediato. En el primer caso observamos una recuperación funcional desde la primera dosis sin efectos adversos destacables hasta el día de hoy, como en el paciente post-trasplante, manteniendo un buen control de la MAT a pesar de dosis más espaciadas (8 semanas). La inclusión de este fármaco en el arsenal terapéutico abre una nueva vía de tratamiento seguro en pacientes pediátricos con SHUa