

XXVIII REUNIÃO SHOP XIII CONGRESSO SEHOP

1^{ER} CONGRESSO IBÉRICO DE HEMATOLOGÍA Y E ONCOLOGÍA PEDIÁTRICAS *virtual*

LIBRO DE ABSTRACTS



SOCIEDADE DE HEMATOLOGIA
E ONCOLOGIA PEDIÁTRICA
DA SOCIEDADE PORTUGUESA DE PEDIATRIA

SEHOP

SOCIEDAD ESPAÑOLA
DE HEMATOLOGÍA Y ONCOLOGÍA
PEDIÁTRICAS

21 Y 23 SEP
28 Y 30 SEP 2021

 **GEYSECO.es**
GESTIÓN DE CONGRESOS Y SOCIEDADES

SECRETARÍA TÉCNICA
T 34 93 221 22 42 F 34 93 221 70 05
www.geyseco.es - barcelona@geyseco.es



SEHOP
SOCIEDAD ESPAÑOLA
DE HEMATOLOGÍA Y ONCOLOGÍA
PEDIÁTRICAS

SOCIEDADE DE HEMATOLOGIA
E ONCOLOGIA PEDIATRICA
DA SOCIEDADE PORTUGUESA DE PEDIATRIA

1^{ER} CONGRESSO IBÉRICO DE HEMATOLOGIA Y E ONCOLOGIA PEDIATRICAS

virtual

21 Y 23 SEPT 2021
28 Y 30 SEPT

ÍNDICE

COMUNICACIONES ORALES

SESIÓN MARTES 21 SEPTIEMBRE 2021.....	página 3
SESIÓN JUEVES 23 SEPTIEMBRE 2021.....	página 15

POSTERS

POSTERS ELECTRÓNICOS Y POSTERS CON DEFENSA.....	página 27
---	-----------



SEHOP
SOCIEDAD ESPAÑOLA
DE HEMATOLOGÍA Y ONCOLOGÍA
PEDIÁTRICAS

1^{ER} CONGRESO IBÉRICO DE HEMATOLOGIA Y ONCOLOGIA PEDIATRICAS

virtual

21 Y 23 SEPT 2021
28 Y 30 SEPT

COMUNICACIONES ORALES/ COMUNICAÇÕES ORAIS

21 / 09 / 2021

17:20-18:50h (CET TIMEZONE)

C0033 FACTORES DE RIESGO Y SUPERVIVENCIA DEL FALLO DE INJERTO EN TRASPLANTE HAPLOIDÉNTICO CON DEPLECIÓN “EX-VIVO” DE LINFOCITOS T EN PACIENTES PEDIÁTRICOS CON HEMOPATÍAS MALIGNAS.

¹ Iván López Torija, ¹ Blanca Molina Angulo, ² Alba Peretó Moll, ¹ Josune Zubicaray, ¹ Julian Sevilla Navarro, ¹ Elena Sebastián, ¹ Ana Castillo, ¹ Miguel Ángel Díaz Pérez, ¹ Marta González Vicent

¹ Hospital Universitario Niño Jesús. Madrid, España.

² Hospital Clínico de Valencia, España.

1 Objetivos/ Metas

Actualmente no existen estudios de factores de riesgo para el fallo de injerto en pacientes pediátricos que se someten a un trasplante haploidéntico con depleción de células T “ex-vivo”.

2 Material y Métodos/ Material e métodos

Analizamos retrospectivamente los factores de riesgo y los resultados del fallo del injerto (FI) después de un trasplante haploidéntico con depleción T en pacientes pediátricos con neoplasias hematológicas. Se incluyeron 148 trasplantes haploidénticos: 78 con LLA y 70 con LMA. Cuarenta y seis trasplantes se realizaron en 1^a RC, 62 en 2^a RC y 40 más allá de 2^a RC o con enfermedad activa en el momento del trasplante.

3 Resultados

Un total de 22 de 148 pacientes desarrollaron FI. Trece de ellos fueron diagnosticados de FI primario y 9 de FI secundario. La incidencia acumulada de FI fue del 15±3%. El análisis multivariado mostró que la edad menor de 9 años (HR: 5,0; IC del 95%: 1,1-23,2; p <0,037) y un número de linfocitos CD8 + ³150 / mL antes del trasplante (HR: 12,0; IC del 95%: 1,6-95,3; p <0,016) fueron variables asociadas con FI. En consecuencia, estos factores de riesgo se utilizaron para desarrollar una puntuación de riesgo para FI y se asignaron puntuaciones a cada paciente. La incidencia acumulada de FI a los 70 días después del trasplante para aquellos pacientes que tenían ambas variables previas al trasplante (3 puntos) fue 24±6%, para pacientes con CD8 + ³150 / mL (2 puntos) fue 6±4% y 3 ±2% para pacientes menores de 9 años (1 punto).

Con una mediana de seguimiento de 48 meses (rango; 4-180 meses), 14 (64%) de los 22 pacientes con FI están vivos y libres de enfermedad. Ocho pacientes fallecieron; cuatro por infección y dos por EICH después de un segundo trasplante, uno por fallo del injerto y uno por recaída de la enfermedad. La probabilidad de SLE para los pacientes con FI fue de 53 ± 6%.

4 Conclusiones/ Conclusões

La edad del paciente y el número de linfocitos CD8+ antes del trasplante están asociados con FI en pacientes pediátricos con leucemia aguda que se someten a un trasplante haploidéntico con depleción de células T “ex-vivo”. Estos hallazgos destacan la importancia de la inmunidad celular preexistente en el receptor del trasplante y respaldan el análisis de la población de células T como parte del programa de trabajo del paciente antes del trasplante.



SEHOP
SOCIEDAD ESPAÑOLA
DE HEMATOLOGÍA Y ONCOLOGÍA
PEDIÁTRICAS

1^{ER} CONGRESO IBÉRICO DE HEMATOLOGIA Y ONCOLOGIA PEDIATRICAS

virtual

21 Y 23 SEPT 2021
28 Y 30 SEPT

C0074 LINFOMA DE HODGKIN PREDOMINIO LINFOCÍTICO NODULAR EN PACIENTES PEDIÁTRICOS Y ADOLESCENTES: REVISIÓN DE PACIENTES DIAGNOSTICADOS EN ESPAÑA ENTRE NOVIEMBRE DE 2007 Y DICIEMBRE DE 2019.

¹ Ana Carbone Bañeres, ² Mar García García, ³ Carmen Bárcena García, ⁴ Mercedes Guibelalde del Castillo, ⁵ Carmen Garrido Colino, ⁶ Aizpea Echebarria Barona, ⁷ Mónica Coronado Puggio, ⁸ Ana Fernández-Teijeiro Álvarez

¹ Unidad de Oncohematología pediátrica Hospital Universitario Miguel Servet. Zaragoza, España.

² Servicio de Anatomía Patológica. Hospital Clínico Universitario Lozano Blesa, Zaragoza, España.

³ Servicio de Anatomía Patológica, Hospital Universitario 12 de octubre, Madrid, España.

⁴ Unidad de Onco-Hematología pediátrica, Hospital Universitario Son Espases Palma-Islands Baleares, España.

⁵ Unidad de Onco-Hematología pediátrica, Hospital Materno-Infantil Gregorio Marañón. Madrid, España.

⁶ Unidad de Onco-Hematología pediátrica, Hospital Universitario Cruces, Baracaldo-Vizcaya, España.

⁷ Servicio de Medicina Nuclear, Hospital Universitario La Paz, Madrid, España.

⁸ Unidad de Onco-Hematología Pediátrica, Hospital Universitario Virgen Macarena, Sevilla, España.

1 Objetivos/ Metas

En el año 2007 el grupo de trabajo de linfoma de Hodgkin de la SEHOP estableció recomendaciones para el tratamiento de los pacientes pediátricos y adolescentes con **linfoma de Hodgkin predominio linfocítico nodular (LHPLN)**: Para estadios IA y IIA protocolo Euronet-PHL-LP1 y para estadios más avanzados poli quimioterapia estándar o de baja intensidad. Además, desde 2008 se estableció y recomendó la revisión patológica centralizada por parte de los patólogos de los ensayos Euronet.

Objetivo

Analizar los datos y la evolución de los pacientes pediátricos y adolescentes diagnosticados de LHPLN en España entre noviembre-2007 y diciembre-2019

2 Material y Métodos/ Material e métodos

Se envió un cuestionario a 36 unidades de Onco-Hematología pediátrica. Análisis: descriptivo de las siguientes variables: género y edad al diagnóstico, revisión patológica centralizada y PET al diagnóstico, tratamiento, seguimiento, evolución, recaídas y tratamiento

3 Resultados

Respondieron al cuestionario 28/36 unidades y se analizaron los datos de 59 pacientes (p) de 26 hospitales: varones 41 y mujeres 18 (2,2/1). Edad media al diagnóstico: 9 años (a) y 7 meses (m) (intervalo 5a-16a). Revisión patológica centralizada en 36/59 (61%). PET para estadiaje en 50/59 (85%). Distribución por estadios: 46p con estadios precoces; IA 21p; IIA 24p; IIB 1p; IIIA 7p; IV 6p. 16/21p IA fueron tratados sólo con cirugía y resección completa; 24p IIA: 11 recibieron 3CVP, 5p 3R-CVP; 1p 6RCVP, 2p CVP+R-CVP y 5p poli quimioterapia. 1p IIB recibió 2OEPa +2R-COPAD y 13p en estadios avanzados recibieron tratamiento según Euronet-C1, SEOP LH-2003 o con R-CHOP.

La mediana de seguimiento fue de 41,5m (intervalo 3m-132m). 14/59p (23,7%) recayeron con una mediana de tiempo de recaída de 10,5m (intervalo 5m-52m); 6/16p IA tratados únicamente con cirugía y resección completa recayeron, mediana 7,5m (intervalo 5-16m); IIA: 4p; III: 2p y IV: 2p.

Tratamiento de la recaída: Estadio I: CVP, R-CVP; IIA-IV: IEP/ABVD/ICE+rituximab + radioterapia y 4 p recibieron TPH.

Todos los pacientes están vivos: 46p en 1ª remisión completa (RC), 11p en 2ª RC, 1p en remisión parcial (RP) y todavía en quimioterapia y 1p en 3ª RC después de R-CHOP más radioterapia.

4 Conclusiones/ Conclusões

En nuestra serie, los pacientes con LHPLN tienen un pronóstico excelente. El incremento de la revisión patológica centralizada a lo largo de la última década ha supuesto una mejora en la calidad en el diagnóstico patológico de esta entidad. La cirugía con resección completa como único tratamiento fue efectiva en el 75% de



SEHOP
SOCIEDAD ESPAÑOLA
DE HEMATOLOGÍA Y ONCOLOGÍA
PEDIÁTRICAS

1^{ER} CONGRESO IBÉRICO DE HEMATOLOGIA Y E ONCOLOGIA PEDIATRICAS *virtual* 21 Y 23 SEPT 2021 28 Y 30 SEPT

los pacientes. El 76,7% de p que recibieron quimioterapia de baja intensidad o poli quimioterapia +/- rituximab permanecen en 1^o RC. Las recaídas pueden ser rescatadas con poli quimioterapia +/- rituximab +/- radioterapia. En los próximos años desde la SEHOP se seguirá fomentando la revisión patológica centralizada y la participación en estudios internacionales multicéntricos de los pacientes pediátricos españoles con LHPLN.



SEHOP
SOCIEDAD ESPAÑOLA
DE HEMATOLOGÍA Y ONCOLOGÍA
PEDIÁTRICAS

1^{ER} CONGRESO IBÉRICO DE HEMATOLOGIA Y ONCOLOGIA PEDIATRICAS

virtual

21 Y 23 SEPT 2021
28 Y 30 SEPT

C0025 REVISIÓN DEL MANEJO DE LOS PACIENTES INACTIVADORES SILENTES DE PEG-ASPARRAGINASA EN LA LEUCEMIA LINFOBLÁSTICA AGUDA Y LINFOMA LINFOBLÁSTICO EN UN HOSPITAL DE TERCER NIVEL DURANTE EL AÑO 2019.

¹ **Isabel Atiénzar Esteban**, ¹ Mikael Lorite Reggiori, ¹ Elena García Macías, ¹ Fernando Aguirregomez cortá García, ¹ Samuel Navarro Noguera, ¹ Jose Antonio Salinas Sanz, ² Edgar Zapico Muñiz

¹ Hospital Universitario Son Espases. Palma, España.

² Hospital Universitario Sant Pau. Barcelona. España.,

1 Objetivos/ Metas

La L-asparaginasa (L-ASP), enzima de origen bacteriano, es un fármaco básico en el tratamiento de niños con leucemia linfoblástica aguda (LAL) o linfoma linfoblástico (LL).

Su utilización intensiva ha permitido mejorar las tasas de supervivencia libre de enfermedad (SLE), sobre todo en pacientes de alto riesgo y niños con LAL fenotipo T.

Clásicamente, se describen reacciones de hipersensibilidad que conllevan la formación de anticuerpos anti-asparaginasa. Éstos también están presentes en pacientes sin hipersensibilidad o inactivadores silentes (IS) de las diferentes formulaciones utilizadas de dicha enzima, conllevando un aumento de riesgo de recaídas, de ahí la importancia de su detección precoz.

Revisar los niveles séricos de L-ASP de los pacientes con diagnóstico de LL ó LLA aguda en tratamiento en la Unidad de Oncohematología Infantil (UOI) durante el año 2019.

Describir la actitud tomada en los pacientes IS de dicha enzima respecto al tratamiento quimioterápico, así como las características epidemiológicas y sus antecedentes más destacables.

2 Material y Métodos/ Material e métodos

Estudio retrospectivo descriptivo realizado tras revisión de los niveles séricos de L-ASP y las historias clínicas de los pacientes con diagnóstico de LLA y LL en tratamiento en la UOI entre el 01/01/19 y 31/12/2019.

3 Resultados

Se realizaron 43 determinaciones séricas de L-ASP durante las diferentes fases del tratamiento quimioterápico de 12 pacientes oncológicos pediátricos con una media de edad de 9 años y sin diferencias entre sexos. Once de ellos diagnosticados de LLA y uno de LL.

El valor medio de L-ASP fue 392 U/L.

En 3 de los pacientes se modificó el esquema quimioterápico al objetivar niveles de L-ASP séricos <5 U/L catalogándose como IS y sustituyéndose PEG-ASP por Erwinia-ASP:

- Niño de 12 años, diagnóstico de recaída tardía medular y testicular de LLA-B. Niveles séricos de L-ASP durante el tratamiento de inducción de protocolo de recaída <5 U/L en dos ocasiones.
- Niño de 16 años. Diagnóstico de LLA-T alto riesgo. Anafilaxia tras administración de PEG-ASP en fase de intensificación-AR3 de protocolo SEHOP-PETHEMA. Niveles séricos de L-ASP <5 U/L previos.
- Niña de 4 años. Diagnóstico de LLA-B riesgo intermedio. Niveles séricos de L-ASP <5 U/L en fase de reinducción-1 y anafilaxia tras administración de PEG-ASP en fase de mantenimiento de protocolo SEHOP-PETHEMA.

4 Conclusiones/ Conclusões

La detección precoz de pacientes IS de L-ASP con LL o LLA en tratamiento supone un factor pronóstico determinante aumentando la SLE. En nuestra muestra se detectaron 3 casos de IS permitiendo optimizar su esquema de tratamiento quimioterápico evitando recaídas y mejorando su pronóstico.



SEHOP
SOCIEDAD ESPAÑOLA
DE HEMATOLOGÍA Y ONCOLOGÍA
PEDIÁTRICAS

SOCIEDADE DE HEMATOLOGIA
E ONCOLOGIA PEDIATRICA
DA SOCIEDADE PORTUGUESA DE PEDIATRIA

1^{ER} CONGRESO IBÉRICO DE HEMATOLOGIA Y ONCOLOGIA PEDIATRICAS

virtual

21 Y 23 SEPT 2021
28 Y 30 SEPT

C0028 ANÁLISIS DEL LANDMARK EN PACIENTES CON LEUCEMIAS AGUDAS SOMETIDOS A TRASPLANTE ALOGÉNICO: FACTORES PRONÓSTICOS Y PAPEL DE LA RECONSTITUCIÓN INMUNE.

¹ Blanca Molina Angulo Angulo, ¹ Marta Gonzalez Vicent, ¹ Ivan Lopez Torija, ² Alba Peretó Moll, ¹ Julia Ruiz Pato, ¹ Ana Castillo, ¹ Miguel Angel Díaz Perez

¹ Hospital Niño Jesus, Rivas vaciamadrid, España

² Hospital Clínico de Valencia,

1 Objetivos/ Metas

El trasplante alogénico de progenitores hematopoyéticos (Alo-tph) es la única opción curativa para algunas enfermedades hematológicas malignas. El mayor riesgo de complicaciones ocurre durante el primer año y disminuye posteriormente. Nosotros hemos analizado la reconstitución inmune y los factores pronósticos asociados a la supervivencia a largo plazo.

2 Material y Métodos/ Material e métodos

Se han analizado retrospectivamente todos los pacientes con hemopatías malignas menores de 21 años sometidos a un trasplante alogénico en nuestro centro entre los años 1991 y 2016 que estaban vivos más allá del primer año postrasplante.

3 Resultados

Un total de 162 pacientes estaban vivos al año post trasplante con una mediana de edad de 7 años. La mitad de los pacientes se trasplantaron en fase avanzada. El diagnóstico más frecuente fue LLA (n=90), seguido de LMA/SMD (n=59) y LMC (n=13). La fuente de progenitores fue mayoritariamente sangre periférica (n=133). En cuanto al tipo de donante hubo 72 pacientes trasplantados de donante familiar HLA idéntico, 48 trasplantes haploidénticos y 42 trasplantes de donante no emparentado (incluyendo trasplante de cordón). La supervivencia con una mediana de seguimiento de 10 años fue del 88±2%, con una IA de recaída de 10±2% y una MRT de 8±2%. En el análisis univariado los factores asociados a una mejor supervivencia fueron: trasplantarse en fase precoz (87±3% vs 74±5%, p=0.04), la ausencia de EICH aguda, (87±3% vs 73±5%, p=0.038), no presentar EICH crónica grave (85±3% vs 41±10%, p=0.0001), presentar linfocitos B totales al año por encima de la mediana de 421/mcL (89±4% vs 73±6%, p=0.04) y presentar linfocitos CD4 totales a los 2 años por encima de la mediana de 837/mcL (98±2% vs 82±6%, p=0.026). Sin embargo, en el análisis multivariado el único factor con significación estadística que impacta de forma negativa es la presencia de EICH crónica grave. Hemos analizado el papel de la reconstitución inmune en la mortalidad tóxica (MRT) a largo plazo siendo determinantes la cifra de linfocitos T totales (mediana de 1246/mcL en los supervivientes frente a 242/mcL en los fallecidos) y sus subpoblaciones, así como la cifra de linfocitos B al año postrasplante (mediana de 456/mcL en los supervivientes frente a 12/mcL en los fallecidos).

4 Conclusiones/ Conclusões

La presencia de EICH crónica grave es el único factor que impacta de forma negativa en la supervivencia de aquellos pacientes que están vivos al año del trasplante. La reconstitución inmune tiene un papel pronóstico fundamental en la mortalidad tóxica, no solamente en los primeros meses postrasplante, sino también a largo plazo.



SEHOP
SOCIEDAD ESPAÑOLA
DE HEMATOLOGÍA Y ONCOLOGÍA
PEDIÁTRICAS

SOCIEDADE DE HEMATOLOGIA
E ONCOLOGIA PEDIATRICA
DA SOCIEDADE PORTUGUESA DE PEDIATRIA

1^{ER} CONGRESO IBÉRICO DE HEMATOLOGIA Y ONCOLOGIA PEDIATRICAS

virtual

21 Y 23 SEPT 2021
28 Y 30 SEPT

C0119 PARTICIPACIÓN ESPAÑOLA EN EL ESTUDIO INTERNACIONAL DE HISTIOCITOSIS DE CÉLULAS DE LANGERHANS (LCH-IV). EXPERIENCIA DE LOS PRIMEROS 5 AÑOS.

¹ Itziar Astigarraga Aguirre, ² Ane Karmele Saenz de Arzamendi Oribe, ² Marta LLarena Fernandez, ³ Carmen Rodriguez-Vigil Iturrate, ⁴ Antonio Pérez Martínez, ⁵ Ignacio Gutiérrez Carrasco, ⁶ Montserrat Torrent Español, ⁷ Susana Garcia Obregón

¹ Grupo Histiocitosis SEHOP. Coordinación local del estudio LCH-IV. Servicio Pediatría, Hospital Universitario Cruces. Grupo Oncología Pediátrica. Instituto de Investigación Sanitaria Biocruces Bizkaia, Barakaldo. Departamento de Pediatría.

² UICEC del Instituto de Investigación Sanitaria Biocruces Bizkaia, Plataforma SCReN. Barakaldo, España

³ Grupo Histiocitosis SEHOP. Unidad de Hematología y Oncología Pediátrica. Hospital Universitario Miguel Servet, Zaragoza, España.

⁴ Grupo Histiocitosis SEHOP. Unidad de Hematología y Oncología Pediátrica. Hospital Universitario La Paz, Madrid España,

⁵ Grupo Histiocitosis SEHOP. Unidad de Hematología y Oncología Pediátrica. Hospital Universitario Virgen del Rocío, Sevilla, España.

⁶ Grupo Histiocitosis SEHOP. Unidad de Hematología y Oncología Pediátrica. Hospital de Sant Pau, Barcelona España.

⁷ Coordinación local del estudio LCH-IV. Grupo Oncología Pediátrica. Instituto de Investigación Sanitaria Biocruces Bizkaia, Barakaldo. Departamento de Fisiología, Universidad del País Vasco, España.

1 Objetivos/ Metas

El protocolo internacional LCH-IV incluye recomendaciones para las diferentes formas clínicas de Histiocitosis de células de Langerhans (HCL) y recaídas. Objetivo: Revisar la situación actual y la participación española en el estudio LCH-IV.

2 Material y Métodos/ Material e métodos

Análisis de datos de participación de hospitales españoles y características clínicas al diagnóstico de los pacientes pediátricos incluidos en el protocolo LCH-IV.

3 Resultados

El estudio se inició en Austria en 2011, participan 26 países y se han incluido 1614 pacientes hasta junio 2021. En España, se abrió en junio 2016 en el Hospital Universitario Cruces, está activo en 27 hospitales que representan la mayoría de las Comunidades Autónomas. Se han incluido 103 pacientes procedentes de 23 hospitales en los Stratum: I-15 casos (6 Grupo-1 o multisistémico/MS y 9 grupo-2), II-2 pacientes, VI-44 (ver y observar), VII-42 (seguimiento). Existen pacientes que han estado en varios stratum (VII-seguimiento tras grupos previos o II recaída).

El periodo de reclutamiento internacional se ha prolongado hasta 2025 para aumentar el número y obtener resultados concluyentes. La participación de los hospitales españoles es elevada, ocupa sexto puesto, por debajo de Italia (284), Estados Unidos (152), Alemania (151), Australia/Nueva Zelanda y Reino Unido (148) y Rusia (129).

Los principales órganos afectados son hueso en 87,4%, piel (17,4%). Las lesiones óseas son exclusivas en 77 (52-unifocal y 25-multifocal). La afectación de órganos de riesgo (hígado, bazo o médula ósea) ocurrió en 8 pacientes. Las recomendaciones para casos refractarios están en revisión y 4 formas multisistémicas de alto riesgo se trataron con inhibidores de BRAF V600E (2 dabrafenib y 2 vemurafenib).

Desde 2018 se realizan visitas de monitorización con el apoyo de la plataforma SCReN (Spanish Clinical Research Network) desde el nodo coordinador del Hospital Universitario Cruces, con buena colaboración de los centros participantes.

4 Conclusiones/ Conclusões



SEHOP
SOCIEDAD ESPAÑOLA
DE HEMATOLOGÍA Y ONCOLOGÍA
PEDIÁTRICAS

1^{ER} CONGRESO IBÉRICO DE HEMATOLOGIA Y E ONCOLOGIA PEDIATRICAS *virtual* 21 Y 23 SEPT 2021 28 Y 30 SEPT

La participación de los hospitales españoles en el protocolo internacional LCH-IV es elevada y ocupa el sexto lugar en reclutamiento internacional de pacientes.

La oficina de protocolos y la plataforma ECLIM-SEHOP suponen un gran apoyo para los estudios colaborativos de oncología pediátrica. La plataforma SCReN contribuye a la monitorización y representa una gran ayuda para estudios aleatorizados multicéntricos.

La participación mayoritaria es el stratum VI por formas óseas o cutáneas exclusivas, que no requieren ningún tratamiento salvo ver y esperar (42,7%) y en stratum I (14,5%, tanto grupo 1- afectación multisistémica como grupo 2). En casos graves refractarios, deben plantearse nuevas terapias como inhibidores BRAF tipo vemurafenib y dabrafenib.



SEHOP
SOCIEDAD ESPAÑOLA
DE HEMATOLOGÍA Y ONCOLOGÍA
PEDIÁTRICAS

1^{ER} CONGRESO IBÉRICO DE HEMATOLOGIA Y ONCOLOGIA PEDIATRICAS

virtual

21 Y 23 SEPT 2021
28 Y 30 SEPT

C0224 TROMBOEMBOLISMO VENOSO DURANTE EL TRATAMIENTO DE LA LEUCEMIA LINFOBLÁSTICA AGUDA PEDIÁTRICA SEGÚN EL PROTOCOLO LAL-SEHOP-PETHEMA-2013: UTILIDAD DE LA TROMBOPROFILAXIS

¹ Anna Ruiz Llobet, ² Susanna Gassiot, ² Edurne Sarrate, ³ Josune Zubicaray, ⁴ Ángela Menárguez López, ⁴ Melissa Panesso Romero, ⁵ Catalina Montoya, ⁶ José Manuel Vagace, ⁷ José Ramón Molina Hurtado, ⁸ Marina García Morín, ⁹ Miriam García Abós, ¹⁰ María Carmen Mendoza Sánchez, ¹¹ Francisco Lendínez, ¹² Pilar Palomo Moraleda, ¹³ María Tallón, ¹⁴ Berta González, ¹⁵ Emilia Urrutia, ¹⁶ Vicente Serna, ¹⁷ Irene Peláez Pleguezuelos, ¹⁸ Marta Martínez Merino, ¹⁹ José Luis Fuster, ²⁰ Elena Orellana, ²¹ Helga Benítez Muñoz, ²² Rubén Berrueto

¹ Servicio de Hematología Pediátrica, Hospital Sant Joan de Déu Barcelona. Universitat de Barcelona, Institut de Recerca Pediàtrica.

² Laboratorio de Hematología, Hospital Sant Joan de Déu Barcelona. Universitat de Barcelona, Institut de Recerca Pediàtrica.

³ Servicio de Hematología y Hemoterapia, Hematología y Oncología Pediátricas. Hospital Infantil Universitario Niño Jesús, Fundación para la Investigación Biomédica del Hospital Infantil Universitario Niño Jesús.

⁴ Servicio Hematología y Oncología pediátricas. Hospital Universitari Vall d'Hebron, Barcelona.

⁵ Departamento de Pediatría. Hospital General Universitario de Alicante.

⁶ Servicio de Hematología y Hemoterapia. Complejo Hospitalario Universitario de Badajoz.,

⁷ Servicio Hematología y Hemoterapia del Hospital Universitario Reina Sofía, Córdoba.

⁸ Sección de Hematología y Oncología Pediátricas, Hospital General Universitario Gregorio Marañón. Madrid; Instituto de Investigación Sanitaria Gregorio Marañón, Madrid.

⁹ Servicio de Oncología Pediátrica. Hospital Universitario Donostia.,

¹⁰ Complejo asistencial Universitario de Salamanca.

¹¹ Servicio de Pediatría. Complejo Hospitalario de Torrecárdenas, Almería.

¹² Servicio de Hematología y Hemoterapia. Hospital Universitario Central de Asturias.

¹³ Servicio de Pediatría. Hospital Álvaro Cunqueiro Vigo.

¹⁴ Servicio de Hematología y Oncología Pediátricas. Hospital Universitario La Paz, Valencia.

¹⁵ Servicio de Pediatría y Oncohematología pediátricas. Hospital Materno Infantil Virgen de las Nieves, Granada.

¹⁶ Servicio de Pediatría. Hospital de la Santa Creu i Sant Pau, Barcelona.

¹⁷ Servicio de Oncología Pediátrica. Complejo Hospitalario de Jaén.,

¹⁸ Unidad de Oncohematología Pediátrica. Complejo Hospitalario de Navarra, Pamplona

¹⁹ Sección de Oncohematología Pediátrica, Hospital Clínico Virgen de la Arrixaca. Murcia, Spain.

²⁰ Servicio de Hematología y Oncología Pediátricas. Hospital 12 de Octubre, Madrid.

Helga Benítez Muñoz

²¹ Servicio de Oncología pediátrica. Hospital Universitario Virgen Macarena, Sevilla.

²² Servicio de Hematología Pediátrica, Hospital Sant Joan de Déu Barcelona. Universitat de Barcelona, Institut de Recerca Pediàtrica.

1 Objetivos/ Metas

Introducción:

El tromboembolismo venoso (TEV) es una complicación relativamente frecuente durante el tratamiento de la leucemia linfoblástica aguda (LLA) en el paciente pediátrico (3-14%).

Su etiología es multifactorial pero, aunque existen factores de riesgo bien conocidos como la edad, el uso de catéteres venosos centrales (CVC) o la administración concomitante de corticoides y asparaginasa, el papel de



SEHOP
SOCIEDAD ESPAÑOLA
DE HEMATOLOGÍA Y ONCOLOGÍA
PEDIÁTRICAS

SOCIEDADE DE HEMATOLOGIA
E ONCOLOGIA PEDIATRICA
DA SOCIEDADE PORTUGUESA DE PEDIATRIA

1^{ER} CONGRESO IBÉRICO DE HEMATOLOGIA Y ONCOLOGIA PEDIATRICAS

virtual

21 Y 23 SEPT 2021
28 Y 30 SEPT

otros factores como la trombofilia hereditaria todavía es controvertida. Las estrategias preventivas están poco estandarizadas.

2 Material y Métodos/ Material e métodos

Material y métodos:

Estudio retrospectivo, multicéntrico en pacientes de 1-18 años afectados de LLA en tratamiento según la guía vigente (SEHOP-PETHEMA). Se recogieron: datos demográficos, características de la LLA, factores de riesgo asociados al TEV, tromboprofilaxis, eventos hemorrágicos asociados. En los pacientes que presentaron un TEV: datos relacionados con la clínica, el tratamiento y su evolución. Análisis de datos mediante soporte estadístico SPSS.

3 Resultados

Resultados:

Se incluyeron un total de 653 pacientes (55,7% niños), edad media de 5,68 años (DS \pm 11,25) diagnosticados de: LLA-B (n= 550; 19 con translocación 9;22), LLA-T (n= 101), LLA-bifenotípica (n=2). Recibieron tratamiento según grupo de riesgo: estándar (n=61), intermedio (n=431), alto (n=148), desconocido (n=13). Se describieron 58 TEV en 57 pacientes (8.7%) durante las fases de: inducción IA (n=44), IB (n=4), consolidación (n=1), reinducción (n=1), mantenimiento (n=8). Un total de 123 pacientes presentaban algún tipo de trombofilia hereditaria (déficit de antitrombina, proteína S, proteína C, mutación protombina o mutación factor V Leyden).

Los episodios de TEVs consistieron en: trombosis asociada a CVC (n=40; 4 de ellas cardíacas), trombosis seno venoso (n=13), tromboembolismo pulmonar (n=5) y se asociaron con más frecuencia a presencia de trombofilia hereditaria (13% sin tener en cuenta tromboprofilaxis), diagnóstico de LLA-T (17,8%), translocación 9;22 (15,7%), presencia de masa mediastínica (18%) y edad >10 años (12,4%).

Setenta y dos pacientes (2.1%) recibieron tromboprofilaxis con heparina de bajo peso molecular a partir del día 12 de tratamiento durante la fase IA. Se describieron dos sangrados menores, pero ninguno mayor. Entre los pacientes que presentaban algún factor de trombofilia hereditaria, la tromboprofilaxis disminuyó la frecuencia de TEV de manera significativa (de 15% en pacientes sin profilaxis a 8,1%; $p<0.05$).

4 Conclusiones/ Conclusões

Conclusiones:

La incidencia de TEV de esta serie es similar a lo descrito previamente. Entre los factores de riesgo destacan la presencia de CVC, el tratamiento administrado durante la fase de inducción IA y la trombofilia hereditaria. La tromboprofilaxis fue útil para reducir el número de TEVs en los pacientes con trombofilia hereditaria.



SEHOP
SOCIEDAD ESPAÑOLA
DE HEMATOLOGÍA Y ONCOLOGÍA
PEDIÁTRICAS

SOCIEDADE DE HEMATOLOGIA
E ONCOLOGIA PEDIATRICA
DA SOCIEDADE PORTUGUESA DE PEDIATRIA

1^{ER} CONGRESO IBÉRICO DE HEMATOLOGIA Y ONCOLOGIA PEDIATRICAS

virtual

21 Y 23 SEPT 2021
28 Y 30 SEPT

C0282 PREVENCIÓN Y TRATAMIENTO DE MUCOSITIS ORAL CON "LOW LEVEL LASER THERAPY"

¹ *Cristina Nova Lozano*, ¹ *Raquel Olivas Mazon*, ² *Miriam García Fernández*, ³ *Mar Sánchez Beltrán*, ³ *María Fernández-Mariñas Minguez*, ³ *María Isabel Calzadilla Luz*, ³ *Mireia Teruel Reguera*, ¹ *Jaime Verdú Amoros*

¹ *Unidad Oncohematología pediátrica. Hospital Clínico Universitario Valencia. Valencia, España.*

² *Servicio Pediatría. Hospital Clínico Universitario Valencia,*

Mar Sánchez Beltrán

³ *Unidad Enfermería Pediatría-Oncohematología Pediátrica. Hospital Clínico Universitario Valencia,*

1 Objetivos/ Metas

Describir eficacia y seguridad de la aplicación secuencial, preventiva y terapéutica, de LLLT extraoral en MO asociada al tratamiento oncológico en niños y adolescentes

2 Material y Métodos/ Material e métodos

La mucositis oral (MO) es una complicación frecuente en niños y adolescentes oncológicos (50%-80%). La terapia con láser de baja intensidad (*low level laser therapy - LLLT*) ha demostrado ser segura y eficaz en la prevención y tratamiento de la MO secundaria a tratamiento oncológico. Los datos de su eficacia preventiva y terapéutica en población pediátrica reflejan una reducción de la intensidad de la MO, su duración y dolor.

Estudio prospectivo, descriptivo, monocéntrico. Pacientes < 18 años con enfermedades oncológicas que recibieron tratamiento potencialmente causante de MO desde noviembre 2019 hasta julio 2021. Se excluyeron pacientes con fragilidad cromosómica, fotosensibilidad, retinopatías y lesiones displásicas/neoplásicas en mucosa oral. Para valorar el dolor se emplearon las escalas FACES y 0-10 NRS, y para la MO la escala de la WHO. Se empleó el dispositivo Hilaris-FL 1000 (HELTSCHL GmbH, Austria). Los parámetros de irradiación se proporcionaron por el fabricante (Prevención: 3 J/cm², 3 min, 1 vez/día; Tratamiento: 5 J/cm², 5 min, 1-2/día). Prevención: administración diaria desde d+1 hasta fin de ciclo de tratamiento. Tratamiento: diario desde inicio hasta resolución de MO. Las variables categóricas están presentadas como frecuencias absolutas y porcentajes. Las variables continuas se presentan como mediana y rango intercuartílico. La evaluación de las variables se realizó diariamente. Paciente y personal portaron protección ocular.

3 Resultados

Un total de 20 pacientes recibieron profilaxis con LLLT, con una mediana de 11 años (rango 5,5-14). El 80% presentaba leucemia aguda, 10% linfoma de alto grado y 10% un tumor sólido. Se administraron 54 ciclos de laser preventivo, mediana de 3 ciclos/paciente (rango, 2-3) y 4,5 días/ciclo (rango, 3-7). Trece pacientes (65%) presentaron MO con una mediana desde el fin de quimioterapia de 3 días (rango, 2-7). Entre ellos, 10 con leucemia aguda, 1 linfoma y 2 tumores sólidos. En total hubo 20 episodios de MO (40% Grado III-IV). La mediana de dolor referido fue de 4 puntos (rango, 2-8). Cuatro (20%) episodios requirieron opioides intravenosos, una mediana de 5 días (rango, 2,5-7). Tres pacientes (15%) necesitaron nutrición parenteral, y en 14 episodios (70 %) requirieron tratamiento antibiótico. Ningún paciente presentó efectos secundarios al tratamiento.

4 Conclusiones/ Conclusões

El empleo de LLLT secuencial es factible en la prevención y tratamiento de MO en pacientes pediátricos. En nuestra cohorte, un 35% no desarrollaron la complicación. Los resultados obtenidos sientan las bases para futuros estudios prospectivos



SEHOP
SOCIEDAD ESPAÑOLA
DE HEMATOLOGÍA Y ONCOLOGÍA
PEDIÁTRICAS

1^{ER} CONGRESO IBÉRICO DE HEMATOLOGÍA Y ONCOLOGÍA PEDIÁTRICAS

virtual

21 Y 23 SEPT 2021
28 Y 30 SEPT

C0294 MANEJO DE LA FIEBRE EN EL PACIENTE ONCOLÓGICO PEDIÁTRICO EN ESPAÑA: RESULTADOS ENCUESTA SEHOP 2021.

¹ **María Paula Pérez Albert**, ² **Silvia López**, ³ **Jorge Huerta Aragonés**, ⁴ **Raquel Portugal Rodríguez**, ⁵ **Laia Ferres Ramis**, ⁶ **Jose Antonio Villegas Rubio**, ⁷ **Susana Riesco**

¹ *Unidad de Tumores sólidos, Área de Oncología Pediátrica. Hospital Sant Joan de Deu, Barcelona, España.*

² *Servicio de Pediatría, Sección de Oncología Pediátrica. Hospital general Universitario de Alicante, Alicante*

³ *Servicio de Pediatría, Sección de Hematología y Oncología Pediátricas y del Adolescente. Hospital General Universitario Gregorio Marañón. Madrid, España.*

⁴ *Servicio de Hemato-Oncología Pediátrica, Hospital Universitario de Burgos. Burgos, España*

⁵ *Unidad de Hematología y Oncología Infantil, Servicio de Pediatría. Hospital Universitario Son Espases, Mallorca, España.*

⁶ *Sección Oncología Pediátrica, Servicio de Pediatría.*

⁷ *Hospital Universitario Central de Asturias, Oviedo.*

1 Objetivos/ Metas

La fiebre es una complicación frecuente del tratamiento oncológico. El presente estudio busca conocer el manejo de la fiebre en los pacientes pediátricos con cáncer en España.

2 Material y Métodos/ Material e métodos

Desde el Grupo de Soporte de la SEHOP se encuestó vía mail a Oncólogos y Hematólogos pediátricos españoles durante el primer semestre del 2021 con una encuesta de 22 preguntas de respuesta múltiple.

3 Resultados

Se recibieron 47 respuestas desde 32 centros españoles diferentes. El 79% de los encuestados tenía más de 5 años de experiencia en el área, el 85% trataba linfoproliferativos, 80% tumores sólidos y 45% trasplante de progenitores hematopoyéticos (TPH).

En el estudio microbiológico de la fiebre el 100% realiza hemocultivo de vía central periférica y el 57% de vía periférica.

En el tratamiento de la fiebre no neutropénica el 85% opta por manejo ambulatorio, con/sin primera dosis antibiótica intravenosa, empleando amoxicilina-ácido clavulánico el 62% y cefalosporinas orales/intravenosas el 24%.

En el paciente estable con neutropenia febril el antibiótico de elección es una cefalosporina de 3^a/4^a generación (cefepima/ceftazidima) en el 62%, seguido de piperacilina-tazobactam (15%) o combinado con amikacina (10%) y meropenem (10%). En el paciente inestable la combinación preferida es meropenem, aminoglucósido y glicopéptido en un 60%, siendo también frecuente la combinación con cefalosporina o piperacilina-tazobactam. Un 8.5% no incluyen aminoglucósido salvo pacientes post-TPH. Ante la persistencia de la fiebre el 49% de los encuestados asocia glicopéptido a las 48-72 horas, mientras que el 30% retira aminoglucósido/glicopéptido si los inicio y no hay hallazgos clínicos o microbiológicos para mantenerlos.

Si buena evolución, en neutropenias de bajo riesgo el 77% opta por un alta precoz tras 24-48 horas de tratamiento intravenoso. Además, con más de 200 neutrófilos, el 42% valora el alta a las 72 horas de hemocultivos negativos y el 83% con más de 5 días, de ellos el 39% se lo plantea independientemente de la cifra de neutrófilos.

Cuando se para la antibioterapia intravenosa previo a recuperación hematológica, con menos de 200 neutrófilos el 50 % mantiene en observación y el 35% inicia antibioterapia oral, porcentajes que, respectivamente, disminuyen al 30% con más de 200 neutrófilos.

El interés en una guía de recomendaciones o un ensayo clínico en esta área es del 100% y 83%.

4 Conclusiones/ Conclusões

El tratamiento de la fiebre durante el tratamiento oncológico en el paciente pediátrico en España es diverso y presenta puntos de optimización. Por ello sería recomendable elaborar una guía de diagnóstico y tratamiento nacional.



SEHOP
SOCIEDAD ESPAÑOLA
DE HEMATOLOGÍA Y ONCOLOGÍA
PEDIÁTRICAS

SOCIEDADE DE HEMATOLOGIA
E ONCOLOGIA PEDIATRICA
DA SOCIEDADE PORTUGUESA DE PEDIATRIA

1^{ER} CONGRESSO IBÉRICO DE HEMATOLOGIA Y E ONCOLOGIA PEDIATRICAS

virtual

21 Y 23 SET
28 Y 30 SET 2021

C0321 PATOLOGIA HEMATO-ONCOLÓGICA PROVENIENTE DOS PALOPS – CASUÍSTICA DE 3 ANOS

¹ Joana Faleiro Oliveira Faleiro Oliveira, ² Sara Isabel Almeida, ³ Nina Henriques Abreu, ³ Cláudia Ferreira Constantino, ³ Ana Forjaz Lacerda, ³ Filomena Pinho Pereira

¹ Instituto Português de Oncologia Francisco Genti, Lisboa. 1600, Lisboa, Portugal.

² Serviço de Pediatria, Hospital Beatriz Ângelo. Loures, Portugal.

³ Serviço de Pediatria, Instituto Português de Pediatria Francisco Gentil. Lisboa, Portugal.

1 Objetivos/ Metas

Os Países Africanos de Língua Oficial Portuguesa (PALOPs - Angola, Cabo Verde, Guiné, Moçambique, São Tomé e Príncipe) têm, desde os anos setenta, acordos de cooperação com Portugal, que permitem a evacuação de doentes para hospitais públicos portugueses. A realidade socioeconómica destes países continua a ser muito dura, o que se reflete na ausência de respostas locais para as crianças com cancro.

Caracterizar a população de crianças com cancro admitidas numa Unidade de Oncologia Pediátrica (UOP) portuguesa, provenientes dos PALOPs.

2 Material y Métodos/ Material e métodos

Estudo retrospectivo descritivo, através de consulta de processo clínico informatizado, das crianças provenientes dos PALOPs admitidas nesta UOP entre 2017-2019.

3 Resultados

Foram admitidos 71 doentes, representando 13.2% do total de doentes com cancro admitidos na UOP. A maioria das crianças veio de Cabo Verde (28/71), seguido de Angola (18/71). O tempo mediano entre o pedido de evacuação e a chegada a Portugal foi 41 dias (6-256). Decorreram em mediana 127 dias (13-3217) entre o início dos sintomas e a chegada a Portugal. A patologia mais frequente foi a hemato-oncológica (28/71), seguida dos tumores sólidos (23/71) e dos tumores do sistema nervoso central (20/71). Iniciaram terapêutica com intuito curativo 55 crianças. Seis crianças fizeram apenas terapêutica paliativa, 5 não precisaram de tratamento e 5 foram perdidos para seguimento. O tempo mediano entre o início de sintomas e o início do tratamento foi de 127 dias (15-2212) estando atualmente 29 crianças sem evidência de doença, 6 em progressão, 3 em recidiva e 3 em tratamento de primeira linha. Verificaram-se no total 18 óbitos, dos quais 6 casos correspondem às crianças que fizeram apenas tratamento paliativo. Do ponto de vista socioeconómico apenas 10 crianças não necessitaram de apoio financeiro proveniente do Estado Português, Instituição Particular de Solidariedade Social ou familiares. Regressaram ao país de origem 12 crianças.

4 Conclusiones/ Conclusões

Os doentes provenientes dos PALOPs representam uma proporção significativa das admissões anuais nesta UOP. Para doentes oncológicos, o tempo decorrido entre o início dos sintomas e a chegada a Portugal excede largamente o aceitável. A maioria dos doentes necessitou de apoio económico e social. Estes dados sugerem a necessidade de melhorar as práticas de cooperação entre Portugal e os PALOPs, a vários níveis: suspeição, processo de evacuação, apoio durante a estadia e colaboração entre instituições para facilitar o regresso a casa.



SEHOP
SOCIEDAD ESPAÑOLA
DE HEMATOLOGÍA Y ONCOLOGÍA
PEDIÁTRICAS

SOCIEDADE DE HEMATOLOGIA
E ONCOLOGIA PEDIATRICA
DA SOCIEDADE PORTUGUESA DE PEDIATRIA

1^{ER} CONGRESO IBÉRICO DE HEMATOLOGIA Y ONCOLOGIA PEDIATRICAS

virtual

21 Y 23 SEPT 2021
28 Y 30 SEPT

COMUNICACIONES ORALES/ COMUNICAÇÕES ORAIS

23 / 09 / 2021

18:05-19:35h (CET TIMEZONE)

C0130 PREDISPOSICIÓN GENÉTICA AL CÁNCER PEDIÁTRICO; DE LA SECUENCIACIÓN MASIVA A LA CONSULTA CLÍNICA.

¹ Pablo Gargallo Tatay, ¹ Silvestre Oltra Soler, ¹ Yania Yáñez Peralta, ¹ Antonio Juan Ribelles, ² Inés Calabria Torres, ³ Jaime Font de Mora Sainz, ¹ Victoria Castel Sánchez, ¹ Adela Cañete Nieto

Pablo Gargallo Tatay

¹ Oncología Pediátrica, Hospital la Fe. 46026, Valencia, España.

² Departamento de Oncología, Imegen- Health In Code Group. 46980 Paterna, España

³ Laboratorio de biología molecular, investigación clínica y traslacional en cáncer. Instituto de Investigación Sanitaria La Fe, 46026 Valencia.

1 Objetivos/ Metas

El conocimiento sobre la predisposición genética al cáncer pediátrico está en constante crecimiento. La categorización y el manejo clínico de las distintas entidades se ha ido perfeccionando a lo largo de los años. Mientras tanto, cada año se descubren nuevos genes implicados en susceptibilidad al cáncer pediátrico. En este contexto, se puso en marcha el proyecto con los siguientes objetivos:

- 1) Ofrecer a todos los pacientes oncológicos la posibilidad de realizarse un estudio genético de línea germinal.
- 2) Establecer la incidencia de síndromes genéticos en nuestra cohorte.
- 3) Realizar consejo genético en pacientes y familiares.
- 4) Investigar nuevas asociaciones genotipo-fenotipo.

2 Material y Métodos/ Material e métodos

Se propuso el estudio de línea germinal a todos los pacientes de nuevo debut en nuestro centro entre Marzo de 2018 y Marzo de 2020. En caso de sospecha de un síndrome de predisposición específico de acuerdo a los criterios de Jongmans MC y estar disponible su estudio en el hospital, se solicitó el test a través del servicio de genética. Todos los demás pacientes se estudiarían mediante el panel custom *Onconano V2*.

3 Resultados

Se estudiaron genéticamente 170 pacientes oncológicos. La distribución por tipo tumoral no encontró diferencias significativas con la incidencia reportada en el RETI. Del total de pacientes, 153 se estudiaron mediante *Onconano V2* y 17 exclusivamente mediante técnicas convencionales o paneles NGS disponibles en el hospital. La incidencia de síndromes de predisposición fue del 9,4% (16/170) (el gen más frecuentemente alterado fue *RB1* (6/16; 37.5%) seguido de *NF1* (3/16; 18.8%). Otros genes mutados fueron *DICER1*, *NF2*, *SUFU*, *TP53*, *XPC*, *SOS1* y una trisomía 21. Se identificaron además variantes probablemente patogénicas y de probable predisposición al tumor del paciente en un 5,9% adicional de los casos (10/170). Se detectó además un elevado número de variantes patogénicas asociadas a enfermedades recesivas, que requirieron también un asesoramiento genético familiar. Se evaluó la utilidad clínica de la herramienta Jongmans MC, y mostró una alta sensibilidad para detectar los síndromes mejor conocidos. Nuestro estudio confirma que la herramienta Jongmans MC es apropiada para una evaluación rápida de los pacientes, sin embargo, necesita ser revisada y actualizada.

4 Conclusiones/ Conclusões

Hasta un 15% de los pacientes presentan alteraciones genéticas predisponentes al tumor del paciente. Además, cerca del 25% de todos los pacientes son portadores de variantes patogénicas o probablemente patogénicas en genes relacionados con el cáncer y, por lo tanto, requieren asesoramiento genético experto.



SEHOP
SOCIEDAD ESPAÑOLA
DE HEMATOLOGÍA Y ONCOLOGÍA
PEDIÁTRICAS

SOCIEDADE DE HEMATOLOGIA
E ONCOLOGIA PEDIATRICA
DA SOCIEDADE PORTUGUESA DE PEDIATRIA

1^{ER} CONGRESO IBÉRICO DE HEMATOLOGIA Y ONCOLOGIA PEDIATRICAS

virtual

21 Y 23 SEPT 2021
28 Y 30 SEPT

C0116 INFECCIÓN POR SARS-COV2 EN PACIENTES CON HEMOGLOBINOPATÍAS: VIGILANCIA EPIDEMIOLÓGICA Y CURSO CLÍNICO.

¹ Beatriz Ponce Salas, ¹ Eduardo Jesús Bardón Cancho, ² David Beneítez Pastor, ³ Anna Ruiz Llobet, ⁴ Ainhoa Gondra Sangroniz, ^{5,6} Valle Recasens Flores, ¹ Elena Cela de Julián

¹ Servicio de Oncología y Hematología Pediátricas y del Adolescente. Hospital Materno-Infantil Gregorio Marañón. Madrid.,

² Servicio de Hematología y Hemoterapia. Hospital Universitari Vall d'Hebron. Barcelona.,

³ Servicio de Oncología y Hematología. Hospital Sant Joan de Déu, Barcelona.

⁴ Pediatría General y Hemato-Oncología Pediátrica, Hospital Universitario Basurto, Bilbao.

⁵ Servicio de Hematología y Hemoterapia, Hospital Miguel Servet. Zaragoza.

⁶ en representación de grupo REHem

1 Objetivos/ Metas

El objetivo principal es conocer la incidencia acumulada de COVID-19 confirmado entre pacientes afectados de hemoglobinopatías, así como sus características demográficas y clínicas. Los objetivos secundarios son determinar la frecuencia de ingreso en planta y UCI, así como los tratamientos utilizados.

2 Material y Métodos/ Material e métodos

A través del Registro Español de Hemoglobinopatías y Anemias Raras (REHem-AR), se ha llevado a cabo un estudio observacional, descriptivo, multicéntrico y ambispectivo entre el 1 de junio de 2020 y el 31 de mayo de 2021. Todos los pacientes con hemoglobinopatías y COVID-19 confirmado por PCR, test de antígenos o serología fueron incluidos. Las variables cuantitativas se expresaron como medias o medianas y rangos, y las categóricas como valores absolutos y porcentajes.

3 Resultados

Se ha incluido a un total de 70 pacientes procedentes de 25 centros. Además, se han identificado 39 serologías IgG positivas en el seguimiento rutinario, en pacientes sin síntomas previos. La hemoglobinopatía de base se muestra en la Tabla 1. La edad media fue de 13,7 años (rango 9 meses-61 años) y 61 (55,96%) fueron varones. Los tratamientos de base más habituales fueron la hidroxiurea (70) y el régimen transfusional (23, de los cuales 16 precisaban quelación por sobrecarga férrica). Un total de 7 pacientes (6,4%), había recibido un trasplante de progenitores hematopoyéticos (TPH). Las manifestaciones clínicas más frecuentes fueron los síntomas respiratorios (16), la fiebre (11), los síntomas digestivos (5) y el dolor óseo (5), con 43 pacientes asintomáticos. De los 70 casos agudos confirmados, 21 requirieron ingreso: 3 fueron tratados con hidroxiquina y 2 con lopinavir/ritonavir, mientras que los corticoides y el remdesivir fueron prescritos a 1 paciente respectivamente. 3 pacientes recibieron transfusión y 3 enoxaparina. Sólo un paciente requirió ingreso en UCI, sin notificarse ningún fallecimiento.

Hemoglobinopatía Fenotipo

Talasemia	Major N= 8 (7,4%)
N=11 (10,1%)	Intermedia N=3 (3,2%)
	Homocigotos HbS N=75 (68,8%)
Anemia falciforme	Heterocigotos HbS/HbC N=15 (13,7%)
N= 92 (84,4%)	Heterocigotos HbS/Hbb0 N=1 (0,9%)
	Heterocigotos HbS/Hbb+ N=1 (0,9%)
Otras anemias	Déficit de glucosa 6-fosfato deshidrogenasa (G6PDH)
N=6 (5,5%)	N= 3 (2,75%)
	Déficit de Piruvato Kinasa (PK) N=1 (0,92%)
	Otras anemias hereditarias N=2 (1,83%)

4 Conclusiones/ Conclusões



SEHOP
SOCIEDAD ESPAÑOLA
DE HEMATOLOGÍA Y ONCOLOGÍA
PEDIÁTRICAS

SOCIEDADE DE HEMATOLOGIA
E ONCOLOGIA PEDIATRICA
DA SOCIEDADE PORTUGUESA DE PEDIATRIA

1^{ER} CONGRESSO IBÉRICO DE HEMATOLOGIA Y E ONCOLOGIA PEDIATRICAS

virtual

21 Y 23 SEPT 2021
28 Y 30 SEPT

Los pacientes con hemoglobinopatía e infección por SARS-COV2 tienen, en general, un curso asintomático o leve. Esta infección no parece suponer un riesgo aumentado de mortalidad en esta población. Estos resultados deben interpretarse con cautela, dado que la mayoría de nuestros pacientes se encuentra en edad pediátrica, lo que conlleva un riesgo bajo de gravedad en caso de COVID-19.



SEHOP
SOCIEDAD ESPAÑOLA
DE HEMATOLOGÍA Y ONCOLOGÍA
PEDIÁTRICAS

SOCIEDADE DE HEMATOLOGIA
E ONCOLOGIA PEDIATRICA
DA SOCIEDADE PORTUGUESA DE PEDIATRIA

1^{ER} CONGRESO IBÉRICO DE HEMATOLOGIA Y ONCOLOGIA PEDIATRICAS

virtual

21 Y 23 SEPT 2021
28 Y 30 SEPT

C0030 PREVENCIÓN PRIMARIA Y SECUNDARIA DEL ICTUS EN LA COHORTE NEONATAL MADRILEÑA DE ENFERMEDAD DE CÉLULAS FALCIFORMES.

¹ Marina García Morin, ¹ Eduardo Bardón Cancho, ¹ Cristina Beléndez Bieler, ² Áurea Cervera Bravo, ³ Lucía Llorente Otones, ⁴ Vanesa Pérez Alonso, ⁵ Sonsoles San Román, ⁶ Alejandra Aguado Del Hoyo, ⁷ Elena Cela de Julián

Marina García Morin

¹ Oncología y Hematología Pediátricas. Hospital General Universitario Gregorio Marañón, Madrid, España.

² Hematología Pediátrica. Hospital Universitario de Móstoles, Comunidad de Madrid, España.

³ Hematología Pediátrica. Hospital Universitario de Fuenlabrada. Comunidad de Madrid, España.

⁴ Oncología y Hematología Pediátricas. Hospital Universitario 12 de Octubre, Madrid, España.

⁵ Oncología y Hematología Pediátricas. Hospital Universitario La Paz.

⁶ Radiología Pediátrica, Servicio de Radiología. Hospital General Universitario Gregorio Marañón, Madrid.

⁷ Jefe de Sección. Oncología y Hematología Pediátricas. Hospital General Universitario Gregorio Marañón.

1 Objetivos/ Metas

En mayo de 2003, la Comunidad de Madrid (CM) fue la primera en instaurar el cribado neonatal (CN) universal de Enfermedad de Células Falciformes (ECF) en España.

El objetivo de este estudio es analizar la prevención primaria y secundaria del ictus en la población con fenotipo grave (HbSS/SBeta⁰) de la Cohorte Neonatal Madrileña.

2 Material y Métodos/ Material e métodos

Estudio de cohorte multicéntrico, observacional y prospectivo (01/05/2003 - 01/05/2018). Se incluyen pacientes con ECF diagnosticados mediante CN en la CM. Tras su valoración en la Unidad Clínica de Referencia del Hospital General Universitario Gregorio Marañón (HGUGM), el seguimiento de obligado cumplimiento se ha realizado de acuerdo con las Guías de Práctica Clínica en la ECF publicadas por parte de la Sociedad Española de Hematología y Oncología Pediátricas en 2002 y 2010. Los resultados se expresan en números, porcentajes y medianas (p25-p75). Se utiliza la prueba no paramétrica de Mann-Whitney en la comparación de variables cuantitativas por no tener distribución normal. Se consideran estadísticamente significativos valores de $p < 0,05$.

3 Resultados

En los 15 años de estudio se han producido 1.038.324 nacimientos, diagnosticándose 187 pacientes con ECF (151 con HbSS, 6 con HbSBeta⁰, 27 con HbSC y 3 con HbSBeta⁺).

Se han producido 8 ictus en 5 pacientes con HbSS/SBeta⁰, siendo la supervivencia libre de ictus: 90,7% en pacientes y la tasa total de ACV: 0,87 por cada 100 pacientes-año.

Se realiza valoración del riesgo de ictus mediante ecografía doppler transcraneal (EDTC) a partir de los 2 años de edad al 95% de los pacientes elegibles (112 de 118), media de 3,8 estudios por persona. Sin embargo, 2 de los pacientes con ACV no tenían realizado el estudio. Se ha objetivado una mejora en el cumplimiento del programa de prevención primaria de ictus, obteniendo una disminución significativa en la edad en el momento del primer doppler: 4,4 años en los 3 primeros años frente a 2,2 en los siguientes 12 ($p < 0,001$). El 75% de los pacientes con EDTC patológico permanece libre de ACV.

Pese a iniciar un programa transfusional, 3 pacientes sufren un segundo evento isquémico; 2 de ellos libres de transfusiones al cierre de estudio, tras realizar trasplante de progenitores hematopoyéticos (TPH).

4 Conclusiones/ Conclusões

Persiste morbilidad relacionada con las complicaciones neurológicas en los pacientes con ECF. El programa de prevención primaria de ictus mediante EDTC arroja datos de calidad. Pese al régimen transfusional se puede producir recurrencia de ictus, siendo por ello necesario considerar el TPH como opción terapéutica.



SEHOP
SOCIEDAD ESPAÑOLA
DE HEMATOLOGÍA Y ONCOLOGÍA
PEDIÁTRICAS

1^{ER} CONGRESO IBÉRICO DE HEMATOLOGIA Y ONCOLOGIA PEDIATRICAS

virtual

21 Y 23 SEPT 2021
28 Y 30 SEPT

C0167 CHRONIC COMPLICATIONS OF DREPANOCYTOSIS IN ADOLESCENTS - RETROSPECTIVE STUDY OF A TERTIARY HOSPITAL

¹ Sofia Cochito Sousa, ² Rita Rodrigues Antão, ³ Ana Mata, ¹ Catarina Grácio Salgado, ¹ Maria João Palaré, ¹ Anabela Ferrão

¹ Unidade de Hematologia Pediátrica, Departamento de Pediatria. Hospital de Santa Maria, Centro Hospitalar Universitário Lisboa Norte.

² Unidade Funcional de Pediatria, Departamento da Criança. Hospital de Cascais Dr. José de Almeida, Cascais.

³ Serviço de Hematologia e Transplantação de Medula, Centro Hospitalar Universitário Lisboa Norte, Lisboa, Portugal.

1 Objetivos/ Metas

Sickle cell disease survival has increased in the last years in countries with specialized health care. Currently, the causes of death are more related to chronic complications of the disease than to acute complications. The severity of the disease in older children and adolescence varies and there are few data regarding chronic complications and the impact on prognosis and quality of life. We intend to characterize the chronic complications of adolescents with sickle cell disease.

2 Material y Métodos/ Material e métodos

Retrospective study of children ≥ 10 years with sickle cell disease followed in a Pediatric Hematology Unit. Record data: demographic, clinical and laboratory information. Statistical analysis performed with IBM-SPSS®.

3 Resultados

45 children were included, the majority male (58%) with median age of 13,4 (IQR 11,0-16,3) years. The median age at which diagnosis was confirmed was 18 months (IQR 8 months – 5 years). 89% is HbSS and 11% HbS β -thalassemia.

87% of the adolescents have at least one chronic complication. The main complications were: gallstones 31% (71% already submitted to cholecystectomy), respiratory 25% (majority restrictive ventilatory defect), cardiovascular 24% (majority left ventricular dilation), nephropathy 24%, neurologic 22% (ischemic or silent stroke 16%, hemorrhagic stroke 2%, moyamoya disease 4%), puberty delay 15%, hypertension 14%, hepatomegaly/chronic liver disease 11%, short stature 10%, femoral head avascular necrosis 9%, obstructive sleep apnea syndrome 9%, retinopathy 4%. 27% were submitted to surgical splenectomy, the majority due to splenic sequestration.

The majority (75%) are under hydroxyurea treatment, with median age at beginning of 10 years. 7 (16%) are in chronic transfusion regimen (6 under regular simple transfusion and 1 under erytactapheresis) 6 for primary or secondary stroke prevention and one because of frequent and severe priapism. 22% has iron overload and 12% are medicated with iron chelation therapy. As expected, there was an association between chronic transfusion regimen and iron overload ($p=0,001$). One patient died after cholecystectomy at 13 years of age.

4 Conclusiones/ Conclusões

In this study, there was a high rate of chronic complications in adolescents with sickle cell disease. The most frequent complication was gallstones, followed by respiratory, nephropathy and cardiovascular complications. There are few studies regarding the prevalence of chronic complications in adolescents and this study adds important data in relation to that.

Early diagnosis and treatment of complications can reduce long term mortality and improve quality of life, so it is crucial to have regular and multidisciplinary follow-up of these patients and a better knowledge of common complications.



SEHOP
SOCIEDAD ESPAÑOLA
DE HEMATOLOGÍA Y ONCOLOGÍA
PEDIÁTRICAS

SOCIEDADE DE HEMATOLOGIA
E ONCOLOGIA PEDIATRICA
DA SOCIEDADE PORTUGUESA DE PEDIATRIA

1^{ER} CONGRESSO IBÉRICO DE HEMATOLOGIA Y E ONCOLOGIA PEDIATRICAS

virtual

21 Y 23 SET 2021
28 Y 30 SET

C0170 NGS MOLECULAR PROFILE OF PAEDIATRIC BRAIN TUMOURS: RESULTS FROM 78 CONSECUTIVE PATIENTS TREATED AT CENTRO HOSPITALAR UNIVERSITÁRIO DE SÃO JOÃO

¹ Jorge Lima, ² Jorge Pinheiro, ³ Susana Nunes, ³ Ana Paula Fernandes, ¹ Paula Soares, ⁴ Jose Carlos Machado, ⁵ Josue Pereira, ⁶ Maria João Gil-da-Costa

¹ Cancer Signalling and Metabolism Group, i3S-Ipatimup. Porto, Portugal.

² Departamento de Patologia, Centro Hospitalar Universitário de São João. Porto, Portugal.

³ Departamento de Oncologia Pediátrica, Centro Hospitalar Universitário de São João. Porto, Portugal.

⁴ Intercellular Communication and Cancer Group, i3S-Ipatimup. Porto, Portugal.

⁵ Departamento de Neurocirurgia Pediátrica, Centro Hospitalar Universitário de São João. Porto, Portugal.

⁶ Departamento de Oncologia Pediátrica, Centro Hospitalar Universitário de São João. Porto, Portugal.

1 Objetivos/ Metas

Aim: The discovery of molecular biomarkers in paediatric brain tumours has enabled important improvements in the diagnosis, risk stratification and therapeutic approaches; however, their effective utilization in paediatric oncology clinical practice is still lagging behind what is already routinely performed in many adult cancer patients.

Our aim was to address the crucial challenge of successfully bringing molecular medicine to routine clinical practice in the setting of paediatric oncology. We have designed and implemented a protocol between Ipatimup and Centro Hospitalar Universitário de São João, for the rapid and efficient delivery of the molecular portrait of paediatric brain tumours.

2 Material y Métodos/ Material e métodos

We have enrolled in the study 78 patients who met the following inclusion criteria: Age 18 years or below; Newly diagnosed brain tumour, with histologic confirmation, irrespective of location; Previously diagnosed brain tumour, whenever it presented as rare, aggressive or irresectable disease; Availability of tumour material; Signed informed consent.

Tumour samples were centrally reviewed by expert pathologists and profiled using the OncoPrint Childhood Cancer Research Assay, followed by variant calling with Ion Reporter.

3 Resultados

From the 78 tumours that were molecularly profiled, 37 were pilocytic astrocytomas, 15 other low grade glial/glioneuronal tumours, 10 high grade gliomas, 8 medulloblastomas, 3 ependymomas and 5 other tumour entities. *BRAF* was the most frequently altered gene, especially in pilocytic astrocytomas, being also detected in low and high grade gliomas. Other commonly mutated genes were *PIK3CA* and *FGFR*, the former in high grade gliomas and the latter in low grade gliomas. *MYB* and *RAF1* rearrangements were also found in low grade glial/glioneuronal tumours, while high grade gliomas showed a more complex profile, with many cases harbouring multiple alterations in *EGFR*, *PDGFRA*, *ATRX*, *H3F3A*, *HIST1H3B*, *TP53*, among others. A 17-year old patient with CMMR (homozygous mutation in *PMS2*) developed a glioblastoma that carried nearly 5x the average number of mutations usually detected. Among the 8 medulloblastomas, 2 showed mutations in the SHH pathway (1 in *PTCH1* and one in *SUFU*) and 2 in the WNT pathway (1 in *CTNNB1* and one in *APC*). In the remaining cases, 1 one presented *MYCN* amplification, while no alterations were detected in 3 patients.

4 Conclusiones/ Conclusões

This study enabled the detailed molecular study of 78 paediatric brain patients, allowing a more robust tumour classification and the identification of actionable alterations. A subset of the patients are already undergoing targeted therapy, mainly using *BRAF* or *MEK* inhibitors with generally good improvement.



SEHOP
SOCIEDAD ESPAÑOLA
DE HEMATOLOGÍA Y ONCOLOGÍA
PEDIÁTRICAS

SOCIEDADE DE HEMATOLOGIA
E ONCOLOGIA PEDIATRICA
DA SOCIEDADE PORTUGUESA DE PEDIATRIA

1^{ER} CONGRESO IBÉRICO DE HEMATOLOGIA Y ONCOLOGIA PEDIATRICAS

virtual

21 Y 23 SEPT 2021
28 Y 30 SEPT

C0173 CÉLULAS NK MEMORIA: UNA NUEVA ESTRATEGIA PARA EL TRATAMIENTO DEL SARCOMA PEDIÁTRICO

¹ Carla Martín Cortázar, ¹ Carmen Mestre Durán, ¹ Alfonso Navarro Zapata, ¹ Laura Clares Villa, ¹ Karima Al-Akioui, ¹ Cristina Ferreras, ¹ Antonio Pérez Martínez

¹ Instituto de Investigación Biomédica Hospital Universitario La Paz, IdiPAZ. Hospital Universitario La Paz. Madrid.

1 Objetivos/ Metas

ANTECEDENTES: Los sarcomas son tumores muy heterogéneos y clínicamente desafiantes, que representan un 12-15% de los cánceres pediátricos. Los tratamientos actuales han proporcionado resultados modestos para los pacientes con sarcoma. Por lo tanto, es crucial el desarrollo de terapias innovadoras que incrementen la supervivencia y mejoren la calidad de vida de estos niños y adultos jóvenes. Las células asesinas naturales (NK) reconocen y eliminan células malignas sin necesidad de sensibilización previa. Por ello, son una estrategia atractiva para el tratamiento del cáncer. No obstante, su corta vida útil, su persistencia limitada y el microambiente tumoral (TME) inmunosupresor mitigan la terapia con células NK en tumores sólidos, lo que hace indispensable la introducción de aproximaciones biológicas novedosas para mejorar la funcionalidad de las células NK y potenciar sus capacidades anti-tumorales. Las células NK "tipo memoria" inducidas por citoquinas (CIML-NKs) se han descrito recientemente como células NK brevemente pre-activadas que exhiben potentes respuestas anti-tumorales. Además, varios estudios han mostrado que las células ML-NKs adaptativas presentan supervivencia a largo plazo, persistencia in vivo, y resistencia al TME inmunosupresor.

OBJETIVOS: Caracterizar en profundidad las células CIML-NKs y explorar su potencial actividad citotóxica frente a células de sarcoma.

2 Material y Métodos/ Material e métodos

METODOLOGÍA: Para la generación de CIML-NKs, purificamos células NK de donantes sanos y las pre-activamos con un cóctel de citoquinas. Estas células se mantuvieron durante 6 días en cultivo para su diferenciación. Evaluamos su capacidad citotóxica, de degranulación y de producción de citoquinas frente a células de sarcoma mediante ensayos de citotoxicidad de lactato deshidrogenasa (LDH) y citometría de flujo, respectivamente. También estudiamos la expresión de receptores de superficie.

3 Resultados

RESULTADOS: Las células CIML-NKs exhibieron un fenotipo caracterizado por la baja expresión de CD16, y elevada expresión de CD25, CD57, NKG2D y DNAM-1, entre otros marcadores. Al co-cultivar las CIML-NKs con células de sarcoma, estas mostraron un incremento en la producción de IFN γ , pero no detectamos cambios en la expresión de CD107a en comparación con células NK control. Los ensayos de citotoxicidad de LDH a 24h mostraron un leve aumento en la capacidad citotóxica de las CIML-NKs.

4 Conclusiones/ Conclusões

CONCLUSIONES: Nuestros resultados sugieren firmemente que las células CIML-NKs adquieren potentes capacidades anti-tumorales frente a células de sarcoma, demostrado como un incremento en la producción de IFN γ . Por otra parte, son necesarios experimentos adicionales de citotoxicidad con un mayor tamaño muestral. En su conjunto, nuestros hallazgos mostrarán aspectos clave de las CIML-NKs, suponiendo un avance muy prometedor en el tratamiento del sarcoma pediátrico.



SEHOP
SOCIEDAD ESPAÑOLA
DE HEMATOLOGÍA Y ONCOLOGÍA
PEDIÁTRICAS

SOCIEDADE DE HEMATOLOGIA
E ONCOLOGIA PEDIATRICA
DA SOCIEDADE PORTUGUESA DE PEDIATRIA

1^{ER} CONGRESSO IBÉRICO DE HEMATOLOGIA Y E ONCOLOGIA PEDIATRICAS

virtual

21 Y 23 SET
28 Y 30 SET 2021

C0243 REFERENCIAÇÃO A CUIDADOS PALIATIVOS PEDIÁTRICOS EM ONCOLOGIA- QUE CRITÉRIOS USAR?

¹ Miguel Vieira Martins, ² Cláudia Constantino, ² Ana Forjaz Lacerda

¹ Serviço de Pediatria, Centro Hospitalar Universitário Cova da Beira. Covilhã, Castelo Branco.

² Serviço de Pediatria, Instituto Português de Oncologia Lisboa Francisco Gentil. Lisboa, Portugal

1 Objetivos/ Metas

A evolução dos cuidados de saúde tem levado ao aumento da sobrevivência das crianças com cancro. Contudo, a abordagem do sofrimento global e das necessidades psicossociais, tanto das que sobrevivem como das que morrem, permanece um desafio. A referenciação precoce a cuidados paliativos pediátricos (CPP) pretende contribuir para a qualidade de vida das crianças e famílias, mas tem-se debatido com a dificuldade na definição de critérios. O objetivo deste estudo foi avaliar possíveis critérios de referenciação para CPP (“oportunidades”), em crianças que morreram com doença progressiva num departamento de Oncologia Pediátrica entre Jan’2015-Dez’2019.

2 Material y Métodos/ Material e métodos

Estudo longitudinal retrospectivo através da revisão de processos clínicos. Após revisão da literatura foi elaborada uma lista de oportunidades (revisão da literatura), “*automáticas*” (glioma pontino intrínseco difuso; neuroblastoma grau IV, doença progressiva, referenciação para transplante de células hematopoiéticas [TCH]; admissão em cuidados intensivos, recidiva pós-TCH, participação em ensaios clínicos fase I/II; conflito na gestão clínica de doentes gravemente doentes) e “*recomendadas*” (doença recém-diagnosticada com sobrevivência livre de eventos <40% / difícil controlo sintomático; tumor sólido metastático; qualquer doença recidivada; conflitos éticos; necessidade de cuidados continuados complexos na comunidade).

3 Resultados

Foram incluídos 115 doentes, 51% do sexo masculino. A idade de morte variou entre os 3 meses e 18 anos (<1 ano=3%; 1-5 anos =31%; 6-10 anos =28%; 11-14 anos=23%; 15-18 anos=14%). Os tumores sólidos foram a principal causa de morte (46%; 27% hematológicos, 27% sistema nervoso central). O tempo mediano entre o diagnóstico e a 1ª oportunidade foi de 19 dias [Intervalo Inter-quartil 0-155], e do diagnóstico até à morte de 1.4 anos [0.7-3.0]. O número mediano de oportunidades por criança foi de 3 [2-4]. No geral, a oportunidade mais frequente para referenciação foi “doença recidivada”, exceto nos lactentes (em que o mais comum foi “internamento em cuidados intensivos”). A “doença progressiva” (15.5%) e a “referenciação para TCH” (10.2%) foram as principais causas *automáticas*, enquanto “doença recidivada” foi a causa *recomendada* mais comum.

4 Conclusiones/ Conclusões

Este trabalho revela que todas as crianças que morreram de doença progressiva neste departamento, durante o período estudado, tiveram oportunidades para referenciação a CPP, algumas identificadas muito precocemente. Ao tratar-se de uma revisão retrospectiva (a principal limitação), poderemos ter subestimado oportunidades devido à falta de documentação precisa. Consideramos fundamental a validação e o uso abrangente de critérios de referenciação para CPP em crianças com cancro, de forma a promover a integração precoce que permite ir ao encontro das necessidades das crianças e famílias.



SEHOP
SOCIEDAD ESPAÑOLA
DE HEMATOLOGÍA Y ONCOLOGÍA
PEDIÁTRICAS

1^{ER} CONGRESO IBÉRICO DE HEMATOLOGÍA Y ONCOLOGÍA PEDIÁTRICAS

virtual

21 Y 23 SEPT 2021
28 Y 30 SEPT

C0247 RESULTADOS DE UN ESTUDIO SOBRE EL MANEJO ACTUAL DE LOS SARCOMAS EN ADOLESCENTES Y ADULTOS JÓVENES (AYAS) EN NUESTRO PAÍS. REALIZADO POR EL SUBGRUPO AYAS DEL GEIS (GRUPO ESPAÑOL DE INVESTIGACIÓN EN SARCOMAS) EN COLABORACIÓN CON LA SEHOP (SOCIEDAD ESPAÑOLA DE HEMATO-ONCOLOGÍA PEDIÁTRICA)

¹ *Cristina Mata Fernández*, ² *Anna Estival González*, ³ *Nadia Hindí Muñiz*, ⁴ *Antonio Juan Ribelles*, ⁵ *Lucía Castillo Portellano*, ⁶ *Nacho Gutiérrez Carrasco*, ⁷ *Sofía Ruíz Medina*, ⁸ *Claudia Valverde Morales*

¹ *Unidad de Oncohematología Pediátrica y del Adolescente. Hospital Materno-Infantil Gregorio Marañón, Madrid.*

² *Servicio de Oncología Médica. Hospital Germans Trias i Pujol. Badalona.,*

³ *Servicio Oncología Médica. Fundación Jiménez Díaz. Madrid,*

⁴ *Unidad de Oncología Pediátrica. Hospital La Fé. Valencia.*

⁵ *Servicio de Oncología Médica-Unidad de Oncología del Adolescente y Adulto joven. Hospital Virgen de las Nieves. Granada,*

⁶ *Unidad de Oncología Pediátrica. Hospital Virgen del Rocío. Sevilla.*

⁷ *Servicio de Oncología Médica. Hospital Universitario Virgen de la Victoria. Málaga.*

⁸ *Servicio de Oncología Médica. Hospital Vall d'Hebron. Barcelona.*

1 Objetivos/ Metas

Los sarcomas suponen un 27,4% de los tumores sólidos en la adolescencia (14-18 años),. La prevalencia en el adulto joven es más difícil de determinar, al no ser uniforme la edad definitoria. El manejo de esta población es un desafío mundial, por sus necesidades específicas y menores avances, que se está afrontando, entre otros, con la creación de unidades AYAs. Presentamos los resultados de una encuesta para describir la atención actual a esta población en España.

2 Material y Métodos/ Material e métodos

El grupo de trabajo de AYAs-GEIS, elaboró una encuesta sobre el tratamiento de subtipos específicos en esta población (Sarcoma de Ewing -EWS- Osteosarcoma -OS-; Rabdomiosarcoma-RMS-; no rabdomiosarcoma -NRMS-). En marzo 2020 fue enviada a 130 unidades de oncohematología pediátrica -OP- y oncología médica -OM-

Los resultados se expresan en frecuencias, porcentajes o medianas. Para las variables cualitativas se usó el Test Chi-square o Test de Fisher. Se ha considerado estadísticamente significativa la $p < 0.05$

3 Resultados

Respondieron 35 unidades: 17 de OP(48,5%), 15 de OM(42,9%) y 3 unidades AYAs(14-19 años)(8,5%). Los datos de estas últimas se analizaron con los de OP.El número estimado de pacientes con sarcoma tratados en los 2 años previos era 409: 218 en OM, 159 en OP y 32 en AYAs (131 SE, 103 OS, 122 NRMS y 46 RMS). La siguiente tabla expresa los principales resultados:



SEHOP
SOCIEDAD ESPAÑOLA
DE HEMATOLOGÍA Y ONCOLOGÍA
PEDIÁTRICAS

SOCIEDADE DE HEMATOLOGIA
E ONCOLOGIA PEDIATRICA
DA SOCIEDADE PORTUGUESA DE PEDIATRIA

1^{ER} CONGRESO IBÉRICO DE HEMATOLOGIA Y ONCOLOGIA PEDIATRICAS

virtual

21 Y 23 SEPT 2021
28 Y 30 SEPT

INDICACION	REGIMEN/ENSAYO CLINICO(EC)	UNIDAD OM (%pacientes tratados con)	UNIDAD OP (%pacientes tratados con)	COMPARACION PROPORCIONES DE COLUMNA
EWS (primera línea)	EE2012/VAC-IE	92.7%	90.8%	0.693
EWS Recaída/ refractario	rEECur	36.4%	80.3%	<0.001
	OTROS EC FASE 1/2	18.2%	10.5%	0.209
	Ramas concretas del rEECur	29.1%	2.6%	<0.001
OS(primera línea)	ISG-GEIS-OS-2 (GEIS-33)	31.3%	65.5%	<0.001
	MAP-EURAMOS	45.8%	20%	0,005
	CIS-ADRIAMICINA	8.3%	0%	0,09
OS(recaída/ refractario)	GEMcitabina-DOCetaxel	43.8%	11.1%	<0.001
	ICE, CFA-ETO, otros EC 1/2	25%	47.2%	0.034
RMS(primera línea)	RMS2005	57.1%	91.7%	0.007
	TEMIRI	23.8%	0%	0.039
NRMS(primera línea)	EPSSG 2005	0%	94.4%	<0.001
	IFO-DOXO	66.7%	5.6%	<0.001
	Otros: IFO-HD, Trabectedina, DOC-GEM, otros EC	33.3%	0%	<0.001
INCLUSION EN EC	SI	83%	85.3%	0.523
EC ABIERTOS PARA ESTA POBLACION	SI	61.9%	69.6%	0.102



SEHOP
SOCIEDAD ESPAÑOLA
DE HEMATOLOGÍA Y ONCOLOGÍA
PEDIÁTRICAS

1^{ER} CONGRESO IBÉRICO DE HEMATOLOGIA Y E ONCOLOGIA PEDIATRICAS *virtual* 21 Y 23 SEPT 2021 28 Y 30 SEPT

4 Conclusiones/ Conclusões

Nuestro estudio refleja la falta de uniformidad en el tratamiento de los pacientes AYAs con sarcoma entre unidades OP/OM para la mayoría de las indicaciones. Llama la atención el elevado porcentaje de pacientes incluidos en EC respecto a lo reportado en la literatura. Es clara la necesidad de estandarizar su tratamiento dada la asociación conocida entre la falta de homogeneidad y el peor pronóstico global.



SEHOP
SOCIEDAD ESPAÑOLA
DE HEMATOLOGÍA Y ONCOLOGÍA
PEDIÁTRICAS

SOCIEDADE DE HEMATOLOGIA
E ONCOLOGIA PEDIATRICA
DA SOCIEDADE PORTUGUESA DE PEDIATRIA

1^{ER} CONGRESO IBÉRICO DE HEMATOLOGIA Y ONCOLOGIA PEDIATRICAS

virtual

21 Y 23 SEPT 2021
28 Y 30 SEPT

C0304 SOPORTE TRANSFUSIONAL EN LAS UNIDADES DE ONCOLOGÍA Y HEMATOLOGÍA PEDIÁTRICAS Y DEL ADOLESCENTE EN ESPAÑA. RESULTADOS DE LA ENCUESTA SEHOP2021.

¹ Jorge Huerta Aragonés, ² Silvia López Iniesta, ³ María Paula Pérez Albert, ⁴ Raquel Portugal Rodríguez, ⁵ Laia Ferrer Ramis, ⁶ Juan Antonio Villegas Rubio, ⁷ Susana Riesco Riesco

¹ Servicio de Pediatría, Sección de Oncología y Hematología Pediátricas y del Adolescente, Madrid, España.

² Servicio de Pediatría, Sección de Oncología Pediátrica Hospital general Universitario de Alicante, Alicante, España.

³ Unidad de Tumores sólidos, Área de Oncología Pediátrica Hospital Sant Joan de Deu, Barcelona, España.

⁴ Servicio de Hemato-Oncología Pediátrica, Hospital Universitario de Burgos. Burgos, España.

⁵ Unidad de Hematología y Oncología Infantil, Servicio de Pediatría Hospital Universitario Son Espases, Mallorca, España.

⁶ Sección Oncología Pediátrica, Servicio de Pediatría Hospital Universitario Central de Asturias, Oviedo, España.

⁷ Servicio de Pediatría, Sección Oncología pediátrica Hospital Clínico Universitario de Salamanca. España.

1 Objetivos/ Metas

Describir la situación de “mundo real” del soporte transfusional en los centros hospitalarios que tratan pacientes oncohematológicos en España, así como la implementación de recomendaciones basadas en la evidencia.

2 Material y Métodos/ Material e métodos

Estudio descriptivo transversal mediante encuestas por correo electrónico a miembros SEHOP, elaboradas por el Grupo de Trabajo de Terapias de Soporte.

3 Resultados

Se obtienen 66 respuestas de 38 centros españoles. Un 21.9% tratan >100 pacientes/año y un 43.8% entre 30-100. El 79.7% trata tumores sólidos, 87.5% leucemias-síndromes linfoproliferativos, 48.4% trasplante de progenitores hematopoyéticos y 79.7% hematología no maligna. Existe protocolo específico en un 59.1% (73% de los centros).

Un 63.5% de pacientes oncohematológicos requiere >50.000 plaquetas para punción lumbar no diagnóstica (15.9% <20.000/mm³). Un 47.7% no piden requisitos para aspirado/biopsia de médula ósea (30.7% >30.000/mm³). Se requieren >50.000, >75.000 y >100.000 plaquetas/mm³ para reservorio subcutáneo (53.8, 32.5 y 13.8%, respectivamente). En cirugía mayor, >50.000, >75.000 y >100.000 plaquetas/mm³ en 25, 15.6 y 59.4%. Se pide hemograma post-transfusional condicionalmente en 73.9% pre-procedimiento (siempre 12.3%). En pacientes con malignidad en tratamiento, asintomáticos y sin factores prohemorrágicos se transfunde si <10.000 o <20.000 plaquetas/mm³ en 56.6 y 44.4%, respectivamente. En fallo medular o síndrome mielodisplásico si <5.000, 10.000 o 20.000 plaquetas/mm³, aún sin sangrado, en 8.3, 55 y 11.7% de los casos, un cuarto de los encuestados sólo si sangrado justificado por la trombocitopenia. Si hay factores de riesgo hemorrágico, el umbral transfusional sube a 20-30.000 plaquetas/mm³ (98.4%). La dosificación es variable, 10-15 ml/kg (65.2%) o 1U/10kg (27.3%).

Los hematíes se transfunden pacientes asintomáticos si Hb<7 (63.5%) o <8 (33.3%) g/dl. Si sintomatología leve se eleva el umbral (93.6% de los casos, 71.4% con <8 g/dl). La dosificación habitual es 15 ml/kg (65.6%) con ritmo de infusión variable (54.5%, 1-2 horas/unidad). El 54.5% aumenta el umbral en pacientes ambulatorios.

Respecto al PFC la mayoría (74.6%) lo administra profilácticamente si INR>2.5/TTPA>60 seg. en procedimientos invasivos o terapéuticamente si hay coagulopatía con sangrado activo. Un 3.2% lo hace en asintomáticos con coagulopatía.

La depleción leucocitaria es rutinaria (93.8%), irradiándose exclusivamente en indicaciones específicas en 69.2%. Se premedica con antihistamínicos si hubo reacciones transfusionales previas (leves únicas 59.1%, leves recurrentes/graves 33.3%), asociando corticoides en 18.5 y 69.2% respectivamente.

4 Conclusiones/ Conclusões

En los últimos años se ha actualizado el manejo transfusional en oncohematología pediátrica. Existe gran heterogeneidad entre centros SEHOP, identificándose puntos de mejora basados en la evidencia científica, por lo que sería recomendable la elaboración de guías de consenso nacionales.



SEHOP
SOCIEDAD ESPAÑOLA
DE HEMATOLOGÍA Y ONCOLOGÍA
PEDIÁTRICAS

1^{ER} CONGRESO IBÉRICO DE HEMATOLOGIA Y ONCOLOGIA PEDIATRICAS

virtual

21 Y 23 SEPT 2021
28 Y 30 SEPT

POSTERS ELECTRÓNICOS Y POSTERS CON DEFENSA PÔSTERES ELETRÔNICOS E PÔSTERES COM DEFESA

C0005 LEUCEMIA AGUDA LINFOBLASTICA EN LA INFANCIA. CLASIFICACIÓN Y RESPUESTA AL TRATAMIENTO.

Eduardo Ramos Elbal, Marta Sánchez Serrano (Hospital Clínico Universitario Virgen de la Arrixaca. Murcia, España.), Mercedes Plaza Fornieles (Hospital Clínico Universitario Virgen de la Arrixaca. Murcia, España.), Ana María Galera Miñarro (Hospital Clínico Universitario Virgen de la Arrixaca. Murcia, España.), María Esther Ilnares Riestra (Hospital Clínico Universitario Virgen de la Arrixaca. Murcia, España.), Mar Bermúdez Cortés (Hospital Clínico Universitario Virgen de la Arrixaca. Murcia, España.), Jose Luis Fuster Soler (Hospital Clínico Universitario Virgen de la Arrixaca. Murcia, España.)

1 Objetivos/ Metas

La leucemia aguda linfoblástica (LAL) es la enfermedad maligna más frecuente en la infancia. En función del inmunofenotipo se clasifica como LAL de precursor B (LAL-preB) o T (LAL-T). El fenotipo T se ha asociado clásicamente a mayor carga tumoral, respuesta más lenta al tratamiento y peor pronóstico. El objetivo de este trabajo es comparar la forma de presentación, la respuesta al tratamiento, la supervivencia global (SG), libre de evento (SLE) y la incidencia acumulada de recaída (IAR) de la LAL-T frente a la LAL-preB.

2 Material y Métodos/ Material e métodos

Se analizaron los datos de presentación y los resultados de la evaluación de la respuesta al tratamiento de todos los pacientes pediátricos diagnosticados y tratados en nuestro centro según las recomendaciones de la guía nacional "LAL/SEHOP-PETHEMA 2013"

3 Resultados

Se recogieron 43 casos (32 LAL-preB y 11 LAL-T). La incidencia de masa mediastínica, leucocitosis y disfunción renal, así como la como, la concentración de hemoglobina y la elevación de LDH en plasma al diagnóstico fueron superiores en la LAL-T. La cinética de eliminación de la enfermedad mínima residual tiende a ser más lenta en la LAL-T. Las estimaciones de SG, SLE e IAR a los 5 años para todos los pacientes fueron de 94,8±7,05%, 91,9±8,82% y 3±3%, respectivamente, y no se encontraron diferencias estadísticamente significativas entre la LAL-T y pre-B (SG: 100% vs 93%, SLE: 88,9% vs 93% e IAR: 11,1% vs 0%)

4 Conclusiones/ Conclusões

La LAL-T se presenta con mayor carga tumoral que la LAL-preB y tiende a mostrar una respuesta más lenta, pero los resultados del tratamiento no difieren en en ambos grupos.



SEHOP
SOCIEDAD ESPAÑOLA
DE HEMATOLOGÍA Y ONCOLOGÍA
PEDIÁTRICAS

1^{ER} CONGRESO IBÉRICO DE HEMATOLOGIA Y ONCOLOGIA PEDIATRICAS

virtual

21 Y 23 SEPT 2021
28 Y 30 SEPT

C0006 LAROTRECTINIB DEMUESTRA EFICACIA Y SEGURIDAD DURADERAS EN UNA POBLACIÓN AMPLIADA DE PACIENTES PEDIÁTRICOS CON CÁNCER CON FUSION TRK

SOLEDAD GALLEGRO MELCON, Leo Mascarenhas (Hospital Infantil de Los Ángeles, Facultad de Medicina Keck de la Universidad del Sur de California, Los Ángeles, CA, EE. UU), Catherine M. Albert (Hospital Infantil de Seattle, Universidad de Washington, Centro de Investigación del Cáncer Fred Hutchinson, Seattle, WA, EE. UU), John R. Reeves (Bayer HealthCare Pharmaceuticals, Whippany, Nueva Jersey, EE. UU), Esther De La Cuesta (Bayer HealthCare Pharmaceuticals, Whippany, Nueva Jersey, EE. UU), Laura Dima (Bayer HealthCare Pharmaceuticals, Whippany, Nueva Jersey, EE. UU), Theodore W. Laetsch (Universidad de Texas, Centro Médico/Hospital Infantil Southwestern, Dallas, TX, EE. UU), Cornelis M. van Tilburg (Centro Oncológico Infantil Hopp Heidelberg (KITZ), Hospital Universitario de Heidelberg y Centro Alemán de Investigación del Cáncer (DKFZ), Heidelberg, Alemania.)

1 Objetivos/ Metas

El inhibidor de TRK altamente selectivo larotrectinib, aprobado por la FDA y la EMA, ha demostrado una tasa de respuesta objetiva (TRO) del 79 % y una mediana de supervivencia libre de progresión (SLP) de 28,3 meses en cánceres portadores de fusiones de los genes NTRK. Comunicamos los datos actualizados de la eficacia y la seguridad de larotrectinib en una población ampliada de pacientes pediátricos con cáncer con fusión TRK.

2 Material y Métodos/ Material e métodos

Se incluyeron pacientes pediátricos (<18 años) con cáncer con fusión TRK que no afectaba al sistema nervioso central, participantes en los ensayos clínicos de larotrectinib (NCT02637687, NCT02576431). La respuesta fue evaluada empleando los criterios RECIST v1.1. Fecha límite para la recogida de datos: 15 de julio de 2019.

3 Resultados

Se incluyeron a 59 pacientes pediátricos (mediana de edad: 1,3 años, IC 95%: 0,1-14,8). Los tipos de tumores incluyeron fibrosarcoma infantil (58%), otros sarcomas de partes blandas (36%), cáncer de tiroides (3%), melanoma (2%) y nefroma mesoblástico congénito (2%). Las fusiones afectaron a NTRK1 (37%), NTRK2 (5%) y NTRK3 (57%). El 69 % de los pacientes habían recibido tratamiento sistémico previo; 49 % de ellos habían recibido ≥ 2 tratamientos previos). La TRO fue del 92% (IC 95%: 81-97): 35% con respuesta completa (RC); 10% con RC patológica, 56% con respuesta parcial, 7% con enfermedad estable y 2% con enfermedad progresiva. No se alcanzó la mediana de SLP (IC 95 %: 15,2- no estimable) con una mediana de seguimiento de 11,9 meses. Veinte pacientes suspendieron el tratamiento: seis debido a progresión, 11 después de la cirugía (cinco RC patológicas), uno por RC clínica, uno por un acontecimiento adverso (AA; neutropenia) y otro por retirada del consentimiento. Con un seguimiento posterior a la suspensión definitiva del tratamiento que varió de 0,07 a 32,0 meses, los 14 pacientes estaban vivos en la fecha límite de recogida de datos; uno había presentado progresión de la enfermedad. Los AA relacionados con larotrectinib fueron en su mayoría de grado 1-2; no se notificaron AA nuevos o inesperados.

4 Conclusiones/ Conclusões

En una población ampliada de pacientes pediátricos con cáncer con fusión TRK, larotrectinib demostró una eficacia pantumoral sólida y duradera y una seguridad favorable, lo que respalda la realización de pruebas de detección de fusiones de los genes NTRK en los pacientes con tumores sólidos de cualquier tipo.



SEHOP
SOCIEDAD ESPAÑOLA
DE HEMATOLOGÍA Y ONCOLOGÍA
PEDIÁTRICAS

SOCIEDADE DE HEMATOLOGIA
E ONCOLOGIA PEDIATRICA
DA SOCIEDADE PORTUGUESA DE PEDIATRIA

1^{ER} CONGRESO IBÉRICO DE HEMATOLOGIA Y ONCOLOGIA PEDIATRICAS

virtual

21 Y 23 SEPT 2021
28 Y 30 SEPT

C0007 ¿CÓMO HAN VIVIDO LOS PADRES DE LOS NIÑOS CON CÁNCER LA PANDEMIA COVID-19? EXPERIENCIA DE UN CENTRO

Nerea Domínguez Pinilla, Iñigo Pérez Heras (Hospital Virgen de la Salud. Toledo. España), Claudio J. Jiménez López (Trabajo Social. AFANION. Toledo. España), José Mariano Rodríguez (Psicología. AFANION. Toledo, España), Luis Ignacio González-Granado (Pediatria. Hospital 12 de octubre. Madrid, España)

1 Objetivos/ Metas

Según el registro mundial “Global Registry of COVID-19 in childhood cancer” de la SIOP, más de 1.600 pacientes con diagnóstico de cáncer infantil han sufrido una infección por el nuevo coronavirus SARS-CoV-2. Hay pocos datos del impacto psicológico y emocional que han sufrido los padres de los niños y adolescentes con cáncer como consecuencia de la pandemia. Nuestro objetivo es conocer cuáles son sus preocupaciones y cómo han visto afectado el tratamiento y seguimiento de sus hijos como consecuencia de la pandemia.

2 Material y Métodos/ Material e métodos

Realizamos una encuesta online de 18 preguntas con respuesta numérica (0-10, 0=totalmente en desacuerdo, 10=totalmente de acuerdo) sobre sus experiencias, actitudes y comportamientos durante los dos primeros brotes de SARS-CoV-2 en España. La encuesta se realizó de forma transversal entre el 5 de Diciembre de 2020 y el 4 de Enero de 2021.

3 Resultados

De los 177 padres consultados, 52 completaron la encuesta (65% madres). El diagnóstico de sus hijos fue tumores hematológicos (63,5%), tumores de sistema nervioso central (21,2%) y tumores sólidos (15,4%). El 32,7% de los niños estaban recibiendo tratamiento activo, mientras que el 67,3% habían completado el tratamiento (15,4% habían finalizado el tratamiento más allá de 5 años).

Solamente el 9,6% de los niños se habían infectado por SARS-CoV-2.

Al 92,3% de los padres les preocupaba que sus hijos se infectaran por SARS-CoV-2, y el 76,9% mostraron preocupación por que sus hijos sufrieran una enfermedad más grave que otros niños sanos. El 82,8% de los padres referían miedo a que su hijo se infectara en una visita al hospital (48,1% pensaban que podrían contagiarse del personal sanitario).

El 86,6% de los padres refirieron realizar una vigilancia activa sobre la aparición de posibles síntomas de COVID-19 en sus hijos y en los hermanos.

El 55,9% de los padres pensaban que tenían información suficiente sobre COVID-19 en los niños con cáncer (44% habían recibido dicha información del personal sanitario).

El 48,1% habían sufrido retraso o cancelación de citas, y el 57% refirieron estar preocupados por un posible retraso en el diagnóstico de una recaída como consecuencia de la pandemia.



SEHOP
SOCIEDAD ESPAÑOLA
DE HEMATOLOGÍA Y ONCOLOGÍA
PEDIÁTRICAS

1^{ER} CONGRESO IBÉRICO DE HEMATOLOGIA Y E ONCOLOGIA PEDIATRICAS *virtual* 21 Y 23 SEPT 2021 28 Y 30 SEPT

El 55,7% estaban preocupados por el impacto psicológico del aislamiento en sus hijos con cáncer así como en los hermanos. El 19,2% de los padres habían abandonado sus trabajos y no llevaban a los hermanos al colegio para disminuir el riesgo de contagio en sus hijos enfermos.

4 Conclusiones/ Conclusões

Los padres de los niños con cáncer infantil mostraron datos de preocupación así como modificación de sus hábitos durante la pandemia COVID-19.



SEHOP
SOCIEDAD ESPAÑOLA
DE HEMATOLOGÍA Y ONCOLOGÍA
PEDIÁTRICAS

1^{ER} CONGRESO IBÉRICO DE HEMATOLOGÍA Y ONCOLOGÍA PEDIÁTRICAS

virtual

21 Y 23 SEPT 2021
28 Y 30 SEPT

C0008 UNIDADES DE ADOLESCENTES: EL CAMINO HACIA LA SUPERVIVENCIA.

María Trinidad Rueda Cáceres, Lucía Castillo Portellano (Servicio de Oncología Médica, Hospital Virgen de las Nieves, Granada, España), Cristina Alba Torres (Servicio de Oncología Médica, Hospital Virgen de las Nieves Granada, España), María José Ortega Acosta (Servicio de Pediatría, Hospital Virgen de las Nieves, Granada, España), Margarita Lorente Aporta (Servicio de Oncología Médica, Hospital Virgen de las Nieves, Granada España), Francisca Terrones Moreno (Servicio de Oncología Médica, Hospital Virgen de las Nieves, Granada España.)

1 Objetivos/ Metas

Los adolescentes y jóvenes adultos ("AYA") con cáncer han experimentado un menor incremento en la supervivencia en comparación con otros grupos etarios (niños y adultos). Tenemos causas bien identificadas como diferencias en biología molecular, mutaciones somáticas y germinales en diferente proporción, retrasos diagnósticos, menor inclusión en ensayos clínicos, farmacocinética influenciada hormonalmente, o diferencias en esquemas de tratamiento. Asistimos al aumento de la concienciación sobre la necesidad de mejorar estos resultados. Este estudio describe los resultados de la Unidad Funcional del Adolescente del Hospital Virgen de las Nieves.

2 Material y Métodos/ Material e métodos

Se han revisado los pacientes oncológicos diagnosticados de sarcoma (óseo o de partes blandas) entre los 12 y 18 años, en el periodo de 2013 a 2021, siendo 2017 el año de puesta en marcha de la Unidad Funcional del Adolescente, integrada por Oncología Médica y Pediatría. Describimos las características de nuestra población, resultados y una aproximación sobre los tiempos de sospecha, consulta, diagnóstico y tratamiento.

3 Resultados

Obtuvimos 17 pacientes adolescentes con sarcomas, 7 diagnosticados antes de la formación de la Unidad (grupo 1) y 10 diagnosticados tras la formación de la Unidad (grupo 2). Del total de pacientes, 64'7% eran varones, 35'3% mujeres, 88'2% tenían sarcomas localizados y 11'8% metastásicos. Se realizó preservación de fertilidad en el 28'5% del grupo 1 y en el 40% del grupo 2. En cuanto a supervivencia, el 42'8% del grupo 1 y el 80% del grupo 2 siguen vivos en la actualidad. Entre los pacientes con Ewing localizado, la media de duración de la primera línea de tratamiento quimioterápico fue 436 días en grupo 1 y 327 días en grupo 2. Del grupo 2, el 40% fue evaluado por un oncólogo antes de la biopsia o su resultado, participando activamente en la agilización, y en el resto (60%) el tiempo medio entre el resultado de anatomía patológica y la consulta con oncología fue de 6'6 días. Hay menor pérdida de información clínica (datos desconocidos) desde la formación de la Unidad de Adolescentes.

4 Conclusiones/ Conclusões

En nuestra experiencia ratificamos el aumento de supervivencia de los "AYA" cuando son tratados en unidades específicas. Hemos objetivado menor duración de la primera línea de tratamiento, probablemente debido al cambio en manejo de toxicidades influenciado por protocolos pediátricos. Destacar el aumento de preservación de fertilidad en últimos años, que sigue siendo mayor en varones. Es fundamental fomentar el crecimiento de dichas unidades para favorecer la accesibilidad y calidad de vida de estos pacientes.



SEHOP
SOCIEDAD ESPAÑOLA
DE HEMATOLOGÍA Y ONCOLOGÍA
PEDIÁTRICAS

1^{ER} CONGRESO IBÉRICO DE HEMATOLOGÍA Y ONCOLOGÍA PEDIÁTRICAS

virtual

21 Y 23 SEPT 2021
28 Y 30 SEPT

C0009 PRESERVACIÓN DE FERTILIDAD EN "AYA" CON CÁNCER: ¿SE LES HABLA DE CRIOPRESERVACIÓN?

María Trinidad Rueda Cáceres, Lucía Castillo Portellano (Servicio de Oncología Médica, Hospital Universitario Virgen de las Nieves, Granada, España), Cristina Alba Torres (Servicio de Oncología Médica, Hospital Universitario Virgen de las Nieves, Granada, España), María José Ortega Acosta (Servicio de Pediatría, Hospital Universitario Virgen de las Nieves, Granada, España), Rafael Ávalos Marfil (Servicio de Oncología Médica, Hospital Universitario Virgen de las Nieves, Granada, España), Margarita Lorente Aporta (Servicio de Oncología Médica, Hospital Universitario Virgen de las Nieves, Granada, España)

1 Objetivos/ Metas

Los adolescentes y jóvenes adultos ("AYA") con cáncer presentan múltiples peculiaridades, suponiendo un reto en Oncología. La afectación de la función reproductora, con posible infertilidad posterior, es una de las principales preocupaciones de los supervivientes de cáncer infantil o en adolescencia, que repercute en la calidad de vida. La preservación de semen en varones postpuberales es muy accesible, pero las opciones en el sexo femenino y en varones prepuberales son más limitadas, debiendo recurrir a técnicas experimentales (criopreservación de tejido ovárico/testicular), de mayor complejidad. Este estudio describe la frecuencia de preservación de fertilidad en una muestra de adolescentes del Hospital Universitario Virgen de las Nieves.

2 Material y Métodos/ Material e métodos

Se han revisado los pacientes oncológicos con edades comprendidas entre 12 y 18 años diagnosticados entre 2013 y 2021 de sarcoma, siendo 2017 el año de puesta en marcha de la Unidad Funcional del Adolescente, integrada por Pediatría y Oncología Médica. Describimos las características de nuestra población, la realización de preservación de fertilidad y la técnica empleada.

3 Resultados

Obtuvimos 17 pacientes adolescentes con sarcomas, 7 diagnosticados antes de la formación de la Unidad (grupo 1) y 10 diagnosticados tras la formación de la Unidad (grupo 2). Del total de pacientes, 64'7% eran varones, 35'3% mujeres, 88'2% tenían sarcomas localizados y 11'8% metastásicos. Se realizó preservación de fertilidad en el 28'5% del grupo 1, tratándose de un varón (preservación de semen) y una mujer (preservación de corteza ovárica), y en el 40% del grupo 2, siendo todos varones (preservación de semen). Si atendemos al sexo, se realizó preservación de fertilidad en el 45'5% de varones y el 16'7% de mujeres.

4 Conclusiones/ Conclusões

Los programas de preservación de fertilidad deben estar presentes en todo centro que trate "AYA", con asesoramiento individualizado tal y como recogen las guías ESMO y ASCO, actualizadas recientemente. En nuestra muestra destacamos el aumento de preservación en los últimos años, que casi se duplica desde la formación de la Unidad de Adolescentes. Asimismo es llamativa la diferencia entre varones y mujeres, siendo casi 3 veces menor la preservación en mujeres, lo que atribuimos a la menor accesibilidad y mayor morbilidad del proceso en dicho sexo. No disponemos de datos a largo plazo que permitan evaluar el cumplimiento de los deseos genésicos de nuestra población, siendo éste un objetivo futuro junto con la ampliación de la muestra en los próximos años.



SEHOP
SOCIEDAD ESPAÑOLA
DE HEMATOLOGÍA Y ONCOLOGÍA
PEDIÁTRICAS

1^{ER} CONGRESO IBÉRICO DE HEMATOLOGIA Y ONCOLOGIA PEDIATRICAS

virtual

21 Y 23 SEPT 2021
28 Y 30 SEPT

C0011 TUMOR TRITÓN MALIGNO METASTÁSICO EN UN ADOLESCENTE CON NEUROFIBROMATOSIS

Maitane Andión Catalán, Susana Buendía López (Oncología. Hospital Niño Jesús. Madrid. España.), Natalia Camarena Pavón (Oncología. Hospital Niño Jesús. Madrid. España.), Pablo Morató Robert (Cirugía Pediátrica. Hospital Niño Jesús. Madrid. España.), Sara Sirvent Cerdá (Radiología. Hospital Niño Jesús. Madrid. España.), Daniel Azorín Cuadrillero (Anatomía Patológica. Hospital Niño Jesús. Madrid. España.)

1 Objetivos/ Metas

El tumor tritón maligno (TTM) es una variante rara del tumor maligno de la vaina nerviosa periférica (TVNP), con diferenciación rhabdomioblástica. El 70% de los casos se diagnostican en pacientes con neurofibromatosis tipo 1 (NF1). Es un tumor altamente agresivo, con tasas de recidiva precoces de hasta el 50% y pronóstico infausto. Se presenta un caso de TTM metastásico en un adolescente con NF1.

2 Material y Métodos/ Material e métodos

Se realiza una revisión retrospectiva de la historia clínica del caso referido.

3 Resultados

Paciente de 18 años diagnosticado de NF1 que debutó con cuadro de dolor abdominal, pérdida de fuerza y parestesias en miembros inferiores de meses de evolución. En la exploración presentaba una gran masa abdominal palpable. La RM abdominal reveló una masa retroperitoneal (127 x 115 x 117 mm) con intenso realce heterogéneo del contraste y restricción a la difusión, sospechándose un TVNP sobre un neurofibroma previo. Se realizó una resección quirúrgica parcial con márgenes infiltrados. La pieza quirúrgica mostró una proliferación neoplásica de células fusiformes con marcado pleomorfismo, frecuentes mitosis y atipias, formando pequeños fascículos con predominio del crecimiento perivascular. El estudio inmunohistoquímico demostró positividad focal para S100, miogenina y desmina, y Ki67 50%, compatible con un TVNP de alto grado con diferenciación rhabdomioblástica. Tras la cirugía el paciente experimenta una gran mejoría clínica pero el PET-TC realizado tres semanas después mostró signos de progresión local y múltiples metástasis pulmonares bilaterales. Recibió tratamiento según el protocolo EpSSG RMS 2005, basado en quimioterapia tipo IVADoxo con el objetivo de lograr el control de la enfermedad metastásica y reconsiderar un segundo abordaje quirúrgico seguido de radioterapia local. Sin embargo, el paciente falleció por progresión local tras el primer ciclo. La secuenciación tumoral (WES) identificó dos ganancias (duplicación/amplificación) que afectaban a 7q31.2 del gen MET y 8q24.21 del gen MYC. También se revelaron alteraciones mutacionales de SUZ12 c.1214C>G y TP53 c.681delT. No se detectaron fusiones génicas. Este análisis estuvo disponible tras el fallecimiento, por lo que no pudo utilizarse con fines terapéuticos.

4 Conclusiones/ Conclusões

El TTM es una forma muy rara de TVNP, diagnosticada típicamente en adultos jóvenes con NF1. Su comportamiento es altamente agresivo y, aunque no existe un tratamiento estandar, la resección quirúrgica completa seguida de radioterapia ha demostrado impactar en la supervivencia a largo plazo. El mal pronóstico de esta entidad exige una colaboración multidisciplinar para obtener información biológica y desarrollar estrategias terapéuticas dirigidas en el futuro.



SEHOP
SOCIEDAD ESPAÑOLA
DE HEMATOLOGÍA Y ONCOLOGÍA
PEDIÁTRICAS

1^{ER} CONGRESO IBÉRICO DE HEMATOLOGIA Y ONCOLOGIA PEDIATRICAS

virtual

21 Y 23 SEPT 2021
28 Y 30 SEPT

C0013 LINFOMA B DE CÉLULAS GRANDES CON REORDENAMIENTO IRF4: A PROPÓSITO DE DOS CASOS.

Maitane Andión Catalán, Susana Buendía López (Oncología. Hospital Niño Jesús. Madrid. España.), Felisa Vázquez Gómez (Oncología. Hospital Niño Jesús. Madrid. España.), Natalia Camarena Pavón (Oncología. Hospital Niño Jesús. Madrid. España.), Andrés Urquía Renke (Anatomía Patológica. Hospital Niño Jesús. Madrid. España.), Daniel Azorín Cuadrillero (Anatomía Patológica. Hospital Niño Jesús. Madrid. España.), Olga Balagué Ponz (Instituto de Investigaciones Biomédicas August Pi i Sunyer. Barcelona. España. Centro de Investigación Biomédica en Red de Cáncer. Madrid. España.), Itziar Salaverria Frígola (Instituto de Investigaciones Biomédicas August Pi i Sunyer. Barcelona. España. Centro de Investigación Biomédica en Red de Cáncer. Madrid. España.)

1 Objetivos/ Metas

La clasificación de neoplasias linfoides (OMS 2016) incluye el linfoma B de células grandes con reordenamiento *IRF4* (LBCG *IRF4+*) como nueva entidad provisional. Afecta habitualmente a niños y adultos jóvenes como enfermedad localizada y su pronóstico es muy favorable. Presentamos dos casos clínicos tratados en nuestro centro.

2 Material y Métodos/ Material e métodos

Se realiza una revisión retrospectiva de las historias clínicas de los casos referidos.

3 Resultados

- Caso 1: Mujer de 15 años que debutó con amigdalitis de evolución tórpida, diagnosticándose de LBCG *IRF4+* tras biopsia amigdalal por el hallazgo de una proliferación difusa de linfocitos atípicos con positividad para CD45, CD20, PAX5, CD79a, MUM1 y BCL6, así como reordenamiento *IRF4* por FISH. El estudio de extensión con PET-TC, estudio medular y de LCR, descartó enfermedad a distancia. Tratándose de un estadio I no resecado, recibió tratamiento según protocolo Inter-B-NHL ritux 2010, grupo B de riesgo bajo-intermedio. Presentó una respuesta favorable tras la prefase y alcanzó remisión completa tras 1º CYM que mantiene 18 meses tras el fin de tratamiento.
- Caso 2: Niña de 8 años que debutó con cuadro de adenopatías cervicales y asimetría amigdalal. La biopsia ganglionar mostró una proliferación linfoide atípica de patrón difuso con positividad inmunohistoquímica para CD20, PAX5, CD10, CD43, MUM1 y BCL6 y CD5 débil. El estudio FISH demostró reordenamiento del gen *IRF4*. El PET-TC de estadiaje mostró enfermedad limitada a cabeza y cuello, con evaluación de LCR y médula ósea sin infiltración. Considerándose un estadio II, recibió tratamiento según protocolo Inter-B-NHL ritux 2010, grupo B de riesgo bajo-intermedio, con respuesta favorable tras la prefase. Se realizó exéresis ganglionar cervical tras el 1º CYM por estabilidad morfológica sin objetivarse enfermedad viable. Se encuentra en remisión 18 meses tras el fin de tratamiento.

4 Conclusiones/ Conclusões

El LBCG *IRF4+* fue descrito en 2.011 como un subtipo de linfoma B de alto grado poco frecuente pero característico de la edad pediátrica y adulta joven. Hasta entonces, esta entidad se clasificaba como linfoma B difuso de células grandes, linfoma folicular o con componente difuso desde el punto de vista morfológico e inmunohistoquímico. El 80% de los casos debutan con enfermedad localizada, fundamentalmente en área ORL, ganglios cervicales o afectación gastrointestinal. Se caracteriza por la coexpresión de *IRF4/MUM1* y *BCL6*, y frecuentemente expresa *BCL2*. Las escasas series publicadas muestran una ventaja pronóstica frente a otros subtipos de linfoma B pediátrico sin que los datos disponibles hasta la actualidad hayan condicionado un cambio en la estrategia terapéutica empleada.



SEHOP
SOCIEDAD ESPAÑOLA
DE HEMATOLOGÍA Y ONCOLOGÍA
PEDIÁTRICAS

1^{ER} CONGRESO IBÉRICO DE HEMATOLOGIA Y ONCOLOGIA PEDIATRICAS

virtual

21 Y 23 SEPT 2021
28 Y 30 SEPT

C0014 ANGINA INESTABLE SECUNDARIA A ETOPÓSIDO: NO TODA LA CARDIOTOXICIDAD ES POR ANTRACICLINAS.

Susana Buendía López, Maitane Andión Catalán (Oncología Pediátrica. Hospital Infantil Universitario Niño Jesús. Madrid), Natalia Camarena Pavón (Oncología Pediátrica. Hospital Infantil Universitario Niño Jesús. Madrid), Ainhoa Gochi Valdovinos (Unidad Cuidados Intensivos Pediátricos. Hospital Infantil Universitario Niño Jesús. Madrid), María Isabel Iglesias Bouza (Unidad de Cuidados Intensivos Pediátricos. Hospital Infantil Universitario Niño Jesús. Madrid), Amalia Tamariz-Martel Moreno (Cardiología Pediátrica. Hospital Infantil Universitario Niño Jesús. Madrid.)

1 Objetivos/ Metas

La cardiotoxicidad asociada a quimioterapia es un efecto secundario conocido, sobre todo relacionado con las antraciclinas. La relación con otros fármacos es menos frecuente. Presentamos el caso de un paciente que desarrolló isquemia aguda secundaria a la administración de Etopósido.

2 Material y Métodos/ Material e métodos

Descripción de un caso clínico de un paciente con cardiotoxicidad asociada a Etopósido, mediante revisión de su historia clínica.

3 Resultados

Paciente de 12 años sin antecedentes de interés, diagnosticado de leucemia mieloide aguda con duplicación en tándem de FLT3 y mutación de NPM1, sin afectación del sistema nervioso central. Al diagnóstico presentaba 63000 leucocitos, hemoglobina 9 g/dl y 36000 plaquetas. Inició tratamiento según protocolo NOPHO-DBH AML 2012. Previo a la administración de la segunda dosis de Etopósido presentó dolor centrotorácico, de inicio brusco, opresivo, irradiado hacia región cervical, precisando opiáceos para su control, permaneciendo después asintomático. El electrocardiograma y la radiografía de tórax fueron normales, y el ecocardiograma descartó un taponamiento cardíaco. Las troponinas estaban en el límite alto de la normalidad. Al día siguiente se diagnosticó de pericarditis aguda, con electrocardiograma y ecocardiograma basal compatibles. Durante la tercera dosis presentó dolor torácico similar, con elevación del ST desde V3 a V6 en el electrocardiograma y elevación de troponinas. El ecocardiograma fue normal. Fue diagnosticado de angina inestable e inició tratamiento con Carvedilol. A las pocas horas la clínica se resolvió. En electrocardiogramas posteriores presentó inversión de la onda T de V1 a V6 sin elevación del ST, con normalización posterior y descenso de troponinas. Dada la gravedad del cuadro se suspendieron las dosis de etopósido restantes, alcanzando remisión completa tras primer ciclo. Actualmente se encuentra fuera de tratamiento y sin secuelas cardiológicas.

4 Conclusiones/ Conclusões

La isquemia miocárdica secundaria a Etopósido es más conocida en adultos con tumores germinales, factores de riesgo cardiovascular y otros predisponentes (hiperleucocitosis), en combinación con otros fármacos como Cisplatino, Bleomicina o Ifosfamida. En pediatría existen pocos casos documentados de isquemia asociada a la administración única de Etopósido. De los mecanismos fisiopatológicos descritos, el vasoespasmo coronario es el más probable en nuestro caso por lo autolimitado del cuadro, aunque no se realizaron otras pruebas debido a la inestabilidad del paciente. Ante esta clínica se deben descartar también otras causas de dolor torácico como pericarditis, miocarditis o taponamiento cardíaco. Se trata de un efecto grave que puede comprometer la vida del paciente, por lo que es importante tener un alto grado de sospecha para llevar a cabo una actuación precoz.



SEHOP
SOCIEDAD ESPAÑOLA
DE HEMATOLOGÍA Y ONCOLOGÍA
PEDIÁTRICAS

1^{ER} CONGRESO IBÉRICO DE HEMATOLOGÍA Y ONCOLOGÍA PEDIÁTRICAS

virtual

21 Y 23 SEPT 2021
28 Y 30 SEPT

C0018 SARCOMA MIELOIDE TESTICULAR: UNA MANIFESTACIÓN EXTRAMEDULAR INFRECUENTE EN LA EDAD PEDIÁTRICA

María Nazaret Sanchez Sierra, Albert Catala Temprano (Hematología Infantil. Hospital Sant Joan de Deu, Barcelona, España.), María Fabregat Farran (Hematología y Oncología Infantil. Hospital Sant Joan de Deu, Barcelona, España.), Andrea Urtasun Erburu (Hematología y Oncología Infantil. Hospital Sant Joan de Deu, Barcelona, España.), Edurne Sarrate García (Hematología. Hospital Sant Joan de Deu, Barcelona, España.), Susana Rives Sola (Hematología. Hospital Sant Joan de Deu, Barcelona, España.), José Luis Dapena Díaz (Hematología Infantil. Hospital Sant Joan de Deu, Barcelona, España.), Nuria Conde Cuevas (Hematología y Oncología Infantil. Hospital Sant Joan de Deu, Barcelona, España.)

1 Objetivos/ Metas

El sarcoma mielóide (SM) es una forma de presentación extramedular poco frecuente (2-8%) de leucemia mielóide aguda (LMA). Puede aparecer en cualquier localización y generalmente asociar compromiso de médula ósea (MO), siendo rara la afectación testicular aislada.

2 Material y Métodos/ Material e métodos

Presentamos tres casos de SM testicular tratados en nuestro centro.

3 Resultados

Los tres pacientes eran varones, debutaron con aumento de volumen testicular derecho sin clínica sistémica acompañante, hemoperiferia preservada: serie roja y plaquetar normales, mediana de leucocitos al diagnóstico: $7100/\text{mm}^3$ (rango: $3400-12.000/\text{mm}^3$). En todos se realizó orquiectomía tras confirmación diagnóstica de SM y biopsia testicular contralateral negativa.

El primer caso, 12 años, presentaba infiltración en MO con un inmunofenotipo compatible con LMA-M2 según la FAB. Recibió poliquimioterapia (protocolo LAM-SHOP-2000) alcanzando remisión completa (RC) tras un ciclo de inducción. Tras dos ciclos de consolidación, fue sometido a trasplante de progenitores hematopoyéticos (TPH) autólogo en 1^ºRC. A los 15 meses del diagnóstico (9 meses post-TPH) presentó recaída medular y extramedular (nódulos subcutáneos). Recibió tratamiento de rescate utilizando 3 líneas diferentes sin conseguir remisión de su enfermedad siendo éxitus a los 20 meses del diagnóstico.

Los dos pacientes restantes debutaron en época de lactante (12 y 6 meses) como enfermedad extramedular aislada a nivel testicular aunque en el paciente de 12 meses se objetivó un 0.75% de población monocítica atípica en MO por citometría de flujo (CF). El estudio molecular fue positivo en este último caso, detectándose un reordenamiento KMT2A-AF10 (MLLT10) por técnica NGS. Ambos recibieron poliquimioterapia intensiva según esquema NOPHO-DBH-AML-2012. Tras el primer ciclo, alcanzó RC con negativización de la enfermedad residual mínima (ERM) por CF (<0.1%) así como de las copias KMT2A. Fue sometido a TPH alogénico de donante no emparentado con compatibilidad HLA 10/10 en 1^ºRC con radioterapia testicular posterior. Continúa en RC a los 12 meses del TPH. El paciente de 6 meses está en tratamiento activo en la actualidad, en RC y sin complicaciones relevantes.

4 Conclusiones/ Conclusões

El SM es una entidad rara en niños que suele asociarse a edades tempranas (<1 año), subtipo LMA-M5 y reordenamientos del gen KMT2A. El manejo heterogéneo de las series publicadas y la dificultad de seguimiento de la ERM en algunos casos, dificultan la estandarización pronóstica y terapéutica. En cuanto al tratamiento, parece ser sensible a los esquemas de poliquimioterapia habituales de LMA. El papel del tratamiento local (orquiectomía/radioterapia) y del TPH es controvertido. Es importante recordar esta entidad dentro del diagnóstico diferencial de tumores testiculares pediátricos.



SEHOP
SOCIEDAD ESPAÑOLA
DE HEMATOLOGÍA Y ONCOLOGÍA
PEDIÁTRICAS

1^{ER} CONGRESO IBÉRICO DE HEMATOLOGIA Y ONCOLOGIA PEDIATRICAS

virtual

21 Y 23 SEPT 2021
28 Y 30 SEPT

C0019 HACIA UNA INTEGRACIÓN Y ANÁLISIS DE DATOS CLÍNICOS Y GENÓMICOS SOBRE NEUROBLASTOMA APLICANDO MODELADO CONCEPTUAL

Sipan Arevshatyan (PROS Research Center, Universitat Politècnica de València, Valencia, España), José Fabián Reyes Román (PROS Research Center, Universitat Politècnica de València, Valencia, España), Désirée Ramal Pons (Unidad de Oncología Pediátrica, Hospital Universitari i Politècnic La Fe, Valencia, España), Victoria Castel Sánchez (Unidad de Oncología Pediátrica, Hospital Universitari i Politècnic La Fe, Valencia, España), Óscar Pastor López (PROS Research Center, Universitat Politècnica de València, Valencia, España), **Adela Cañete Nieto**

1 Objetivos/ Metas

El Neuroblastoma es uno de los tumores más frecuentes en la infancia, desde 1987 la SEHOP ha puesto en marcha protocolos de diagnóstico y tratamiento del Neuroblastoma nacionales/europeos, que se han seguido por un nº creciente de hospitales. El objetivo principal de este trabajo es el diseño y desarrollo de un Sistema de Información (SI) basado en modelos conceptuales, el cual permita integrar y analizar los datos clínicos y genómicos sobre Neuroblastoma gestionados en la Unidad de Oncología Pediátrica del hospital La Fe, grupo de Neuroblastoma/SEHOP.

2 Material y Métodos/ Material e métodos

Durante la investigación se ha usado:

- El enfoque de Modelado Conceptual para definir los conceptos del dominio y sus relaciones.
- El método SILE[1] para la obtención de las variaciones asociadas con el Neuroblastoma desde distintos repositorios de datos.
- El diseño y desarrollo del prototipo ha comprendido el uso de tecnologías avanzadas como: *Node.js*, *Jade* y *motor de base de datos MySQL*.

El conjunto de protocolos implementados por el grupo de neuroblastoma /SEHOP desde 1992 a la actualidad. [1]Cuenca Gil, P. (2019). *Ciencia de datos para la medicina de precisión: Aplicaciones al diagnóstico genómico del Neuroblastoma*. Universitat Politècnica de València. <http://hdl.handle.net/10251/129326>

3 Resultados

Los resultados de este trabajo son los siguientes: i) Definición y aplicación de mejoras del Modelo Conceptual del Neuroblastoma[1] (MCN), generado a partir de varias sesiones con los expertos del dominio, ii) Generación del SI (prototipo) para la gestión de los datos clínicos y genómicos del Neuroblastoma, el cual se encuentra en continuo desarrollo y fase de pruebas, iii) Gestión de los protocolos N-II-92, N-AR-99, EUNS y en breve se añadirán los datos del estudio LNESG-II.

[1] Arevshatyan, S., Reyes Román, J. F., Burriel, V., Cañete, A., Castel, V., & Pastor, Ó. (2019). *Integration and Analysis of Clinical and Genomic Data of Neuroblastoma applying Conceptual Modeling*.

FINANCIADO POR: Subprograma C 2018, Fomento de Acciones Preparatorias UPV-La Fe para la Exploración y Formulación de Futuros Proyectos de Investigación/Innovación

EUSAPharma, <https://www.eusapharma.com/>

Agencia Estatal de Investigación del Estado y de la Generalitat Valenciana en el marco de los proyectos TIN2016-80811-P y ROMETEO/2018/176 y cofinanciado con el FEDER

4 Conclusiones/ Conclusões

El prototipo “*ClinGenNBL*” es una plataforma software que integra los datos clínicos, genómicos y evolutivos apoyado en un soporte ontológico (MCN). Es un sistema ágil/eficiente que mejora la gestión de la información, permitiendo obtener datos estadísticos, y facilitará la investigación futura en el Neuroblastoma.



SEHOP
SOCIEDAD ESPAÑOLA
DE HEMATOLOGÍA Y ONCOLOGÍA
PEDIÁTRICAS

1^{ER} CONGRESO IBÉRICO DE HEMATOLOGÍA Y ONCOLOGÍA PEDIÁTRICAS

virtual

21 Y 23 SEPT 2021
28 Y 30 SEPT

C0020 CUIDADOS DEL PACIENTE ONCOLÓGICO CON TRASTORNO DEL ESPECTRO AUTISTA

Claudia Nogales González

1 Objetivos/ Metas

Mejorar los cuidados básicos brindados al paciente oncológico con Trastorno del Espectro Autista en planta de hospitalización.

2 Material y Métodos/ Material e métodos

Los profesionales de la salud, no tienen un concepto definido sobre el TEA, lo que genera situaciones de estigmatización y discriminación, por lo que se debe fomentar que el equipo de enfermería incremente sus conocimientos básicos y utilice sus propias herramientas para dotar de rigor sus intervenciones y acciones, aumentando así, la calidad de los cuidados brindados.

El paciente onco-hematológico representa un paciente complejo dado la gran cantidad de cuidados y tratamientos que precisa, por tanto, brindar una atención óptima del cáncer a pacientes con TEA se ha convertido en una prioridad para los profesionales sanitarios, dado los desafíos que plantea. Por eso será fundamental establecer un plan de cuidados individualizado, conjunto a intervenciones y protocolos específicos, con el eje central del soporte familiar, y adaptado a las habilidades y dificultades del paciente oncológico con TEA.

Los pacientes TEA a menudo experimentan signos y síntomas que se pueden superponer con los que nos encontraríamos en patologías relacionados con el cáncer o su tratamiento, como dolor, trastornos del sueño y fatiga, problemas gastrointestinales o desregulación inmunológica. Los mayores obstáculos que nos encontraremos durante el manejo y cuidado de estos pacientes, son sus diferencias en la comunicación e incorrecta interpretación, subestimación de síntomas, la falta de instrumentos o escalas validadas. Las características principales de los TEA son los retos con el contacto social, al uso del lenguaje, y los intereses limitados o comportamientos repetitivos, aunque enfermería puede trabajar con diferentes herramientas (soportes visuales, tira horaria, tarjeta primero-después, rol-playing) para poder adaptarse a las habilidades y dificultades de dichos pacientes durante el ingreso hospitalario.

3 Resultados

Pese a la limitación de los estudios existentes sobre la propuesta a estudio, en todos se destaca la importancia de realizar más estudios relacionando el impacto del cáncer y su terapia en las personas con TEA, para desarrollar instrumentos y estrategias que midan de manera eficaz la calidad, los síntomas presentes y los resultados en esta población durante su estancia hospitalaria. Aunque, en los ya existentes, se ha demostrado una superposición significativa en la expresión génica entre el autismo y algunos tipos de tumores.

4 Conclusiones/ Conclusões

Grosso modo, queda aún un largo camino para adaptar todas las necesidades de personas TEA al contexto hospitalarias y sólo con una correcta y fundamentada actuación de los profesionales de salud, en concreto enfermería, se conseguirá visibilizar el autismo infantil



SEHOP
SOCIEDAD ESPAÑOLA
DE HEMATOLOGÍA Y ONCOLOGÍA
PEDIÁTRICAS

1^{ER} CONGRESO IBÉRICO DE HEMATOLOGÍA Y ONCOLOGÍA PEDIÁTRICAS

virtual

21 Y 23 SEPT 2021
28 Y 30 SEPT

C0022 SITUACIÓN DE LA INVESTIGACIÓN CLÍNICA EN ONCOLOGÍA PEDIÁTRICA EN ESPAÑA: UNA PERSPECTIVA DE 13 AÑOS DEL GRUPO DE NUEVAS TERAPIAS DE LA SOCIEDAD ESPAÑOLA DE HEMATOLOGÍA Y ONCOLOGÍA PEDIÁTRICA (SEHOP)

Alba Rubio San Simón, Raquel Hladun (Servicio de Onco-hematología, Hospital Vall d' Hebron, Barcelona, España), Antonio Juan Ribelles (Servicio de Onco-hematología, Hospital La Fe, Valencia, España), Antonio Pérez Martínez (Servicio de Onco-hematología, Hospital La Paz, Madrid, España), Alicia Castañeda (Servicio de Onco-hematología, Hospital Sant Joan de Déu, Barcelona, España), Palma Solano (Servicio de Onco-hematología, Hospital Virgen del Rocío, Madrid, España), Lucas Moreno (Servicio de Onco-hematología, Hospital Vall d' Hebron Barcelona.), Francisco Bautista (Servicio de Onco-hematología, Hospital Niño Jesús, Madrid, España)

1 Objetivos/ Metas

Los ensayos clínicos son el medio ético, legal y científico más apropiado para evaluar nuevos agentes frente al cáncer infantil. En este trabajo describimos las características y la evolución en el tipo de ensayos clínicos precoces (Fase I-II) y plataformas moleculares disponibles en España desde su apertura hasta la actualidad. Se analiza también la evolución de la tasa de reclutamiento y un set de indicadores de la actividad de las Instituciones Españolas en investigación clínica.

2 Material y Métodos/ Material e métodos

Se contactó con los miembros de SEHOP para identificar los ensayos fase I-II y las plataformas moleculares dirigidos a niños y adolescentes con cáncer, abiertos en sus Instituciones Españolas entre el 2007 y 2020. Para cada ensayo se extrajo información referente a sus características, centros abiertos, fechas de apertura y cierre y datos de reclutamiento. Para facilitar el análisis de los resultados se dividió el tiempo de estudio en dos periodos iguales: 01/09/2007-31/12/2013 y 01/01/2014-1/05/2020.

3 Resultados

En este periodo 81 ensayos y 2 plataformas moleculares han sido abiertos. El número de ensayos ha aumentado a lo largo del tiempo de estudio para todos los tipos de tumores, con predominancia de los ensayos en tumores sólidos (66%) sobre los hematológicos. El número de ensayos dirigidos contra tumores con una alteración molecular específica se ha duplicado en el segundo periodo de estudio. La proporción de ensayos financiados por la industria frente a ensayos académicos se ha incrementado durante el segundo periodo (2007-2013: 0.8:1, 2014-2020: 1.8:1). Un total de 565 niños y adolescentes han sido incluidos, con una tendencia en aumento a lo largo de los 13 años analizados.

Para los ensayos internacionales, la mediana de tiempo entre el primer país que contó con la aprobación de la autoridad competente y la aprobación en España fue de 2 meses (0-6.5). La mediana de centros españoles participantes por ensayo fue de 2 (1-3). Catorce de los 81 ensayos fueron esponsorizados por una institución académica española.

4 Conclusiones/ Conclusões

El número de ensayos disponibles y el número de pacientes participantes ha aumentado en España desde 2007. Los ensayos dirigidos a alteraciones moleculares específicas se han incrementado gradualmente en este periodo. Persisten barreras en la equidad de acceso a nuevos fármacos para todos los tipos de cáncer. El crecimiento observado ha venido dado mayoritariamente por un aumento de la actividad de los ensayos de la industria, evidenciando la necesidad de medidas que promuevan la investigación clínica académica en España.



SEHOP
SOCIEDAD ESPAÑOLA
DE HEMATOLOGÍA Y ONCOLOGÍA
PEDIÁTRICAS

1^{ER} CONGRESO IBÉRICO DE HEMATOLOGÍA Y ONCOLOGÍA PEDIÁTRICAS

virtual

21 Y 23 SEPT 2021
28 Y 30 SEPT

C0023 MANEJO Y EVOLUCIÓN DE LA ENFERMEDAD PULMONAR EN PACIENTES PEDIÁTRICOS CON SARCOMA DE EWING (SE) DE NUEVO DIAGNÓSTICO

Alba Rubio San Simón, Susana Buendía (Servicio de Onco-hematología, Hospital Niño Jesús, Madrid, España), Natalia Camarena (Servicio de Onco-hematología, Hospital Niño Jesús, Madrid España.), Sara I Sirvent (Servicio de Diagnóstico por Imagen, Hospital Niño Jesús Madrid, España), Daniel Azorín (Servicio de Anatomía Patológica, Hospital Niño Jesús Madrid, España.), Ana L Luis (Servicio de Cirugía General, Hospital Niño Jesús, Madrid, España.), Carmen González-San Segundo (Servicio de Oncología Radioterápica, Hospital Gregorio Marañón, Madrid, España), Francisco Bautista (Servicio de Onco-hematología, Hospital Niño Jesús Madrid, España)

1 Objetivos/ Metas

Las metástasis pulmonares radiológicamente evidentes están presentes en el 10-30% de los pacientes con sarcoma de Ewing (SE) al diagnóstico. La identificación de nódulos pulmonares plantea dificultades diagnósticas, particularmente las lesiones sub-centimétricas como única manifestación de enfermedad metastásica. No está claro el impacto de estas lesiones en el pronóstico. El objetivo de este estudio es describir el manejo de los pacientes con SE y lesiones pulmonares como única manifestación de enfermedad metastásica y su impacto en la supervivencia libre de evento (SLE) y global (SG).

2 Material y Métodos/ Material e métodos

Estudio unicéntrico, descriptivo, retrospectivo (2001-2018). Se incluyeron pacientes si (i) tenían SE de nuevo diagnóstico, (ii) se disponía de datos esenciales demográficos, terapéuticos y supervivencia. La enfermedad pulmonar se definió según EuroEwing-2012: (i) sin evidencia de nódulos (Grupo A) (ii) un nódulo pulmonar mayor a 1 cm o más de un nódulo mayor de 0,5 cm (Grupo B), (iii) un nódulo solitario de 0,5-1 cm o múltiples de 0,3-0,5 cm (Grupo C), (iv) un nódulo menor de 0,5 cm o varios menores de 0,3 cm (Grupo D).

3 Resultados

78 pacientes cumplieron criterios de inclusión; 12 tenían enfermedad extra-pulmonar y se eliminaron del análisis. De los 66 restantes, 44 se encuadraron en Grupo A, 5 en B, 10 en C, 7 en D. No hubo diferencias estadísticamente significativas entre grupos en relación a variables basales. Todos los del B se consideraron metastásicos y se trataron como tal. El 80% de los del C se consideraron metastásicos y se trataron como tal, y el 20% restante se consideró no metastásico. El 100% de los del D se consideraron no metastásicos. La mediana de seguimiento fue 3,9 años (0,1-14,8). La SLE (IC95%) a 3 años para los grupos A, B, C y D fue respectivamente: 64,6% (48,3-77,7); 17,9% (0,8-58,2); 65,6% (26-87,6); 66,7% (19,5- 90,4) (p=0,02). La SG (IC95%) a 3 años para los grupos A, B, C y D fue: 75,5% (59,1- 86); 26,7% (0,9-68,6); 90% (47,3.-98,5); 100% (p=0,04).

4 Conclusiones/ Conclusões

Los pacientes del Grupo B tienen mal pronóstico pese a la intensificación terapéutica con radioterapia pulmonar o trasplante de progenitores. Los del grupo C que reciben radioterapia pulmonar o trasplante tienen supervivencias similares al Grupo A. Los del grupo D, todos tratados como no metastásicos, tienen supervivencias similares al Grupo A. La presencia de un nódulo menor de 0,5 cm/varios menores de 0,3 cm no impacta en el pronóstico. Los resultados deben interpretarse con precaución por el pequeño tamaño muestral.



SEHOP
SOCIEDAD ESPAÑOLA
DE HEMATOLOGÍA Y ONCOLOGÍA
PEDIÁTRICAS

1^{ER} CONGRESO IBÉRICO DE HEMATOLOGÍA Y ONCOLOGÍA PEDIÁTRICAS

virtual

21 Y 23 SEPT 2021
28 Y 30 SEPT

C0026 REVISIÓN DEL MANEJO DE LA NEUTROPENIA FEBRIL EN PACIENTES ONCOLÓGICOS PEDIÁTRICOS EN UN HOSPITAL DE TERCER NIVEL DURANTE LOS AÑOS 2018 Y 2019

Isabel Atiénzar Esteban, David Díaz Pérez (Hospital Universitario Son Espases. Palma. España.), Elena García Macías (Hospital Universitario Son Espases. Palma. España.), Mikael Lorite Reggiori (Hospital Universitario Son Espases. Palma. España.), Samuel Navarro Noguera (Hospital Universitario Son Espases. Palma. España.), Laia Ferrès Ramis (Hospital Universitario Son Espases. Palma. España.), Fernando Aguirregomez Garcia (Hospital Universitario Son Espases. Palma. España.), Jose Antonio Salinas Sanz (Hospital Universitario Son Espases. Palma. España.)

1 Objetivos/ Metas

La neutropenia febril (NF) es una de las causas más frecuentes de ingreso hospitalario en los pacientes oncológicos pediátricos durante su tratamiento. La causa infecciosa es la principal etiología aunque en el 50% de los casos no se filia el agente microbiológico responsable a pesar de la recogida de cultivos.

Revisar los episodios de NF de los pacientes oncológicos en seguimiento por el unidad de Oncohematología Infantil (UOI) desde Enero de 2018 a Agosto de 2019, describiendo las características de los episodios: edad y sexo, diagnóstico oncológico, necesidad de ingreso hospitalario y en UCIP, relación a la quimioterapia (QMT), diagnóstico etiológico al alta, presencia de sepsis durante el episodio, cultivos recogidos, su resultado y el momento de recogida, necesidad de antibioterapia durante el ingreso y necesidad de cambio de antibioterapia.

2 Material y Métodos/ Material e métodos

Estudio retrospectivo descriptivo realizado tras revisión de las historias clínicas de los pacientes de 0-18 años en seguimiento por el UOI con antecedente oncológico (leucemia, linfoma o tumor sólido). Se han registrado los episodios de NF entre el 01/01/18 y el 31/08/2019.

3 Resultados

El número total de episodios de NF fue 74, con media de edad de 8 años sin encontrarse diferencias entre sexos. El 55% de los casos se produjo durante el ciclo QMT y 40% posterior a una semana. El diagnóstico oncológico principal fue leucemia aguda. El diagnóstico al alta más frecuente fue NF sin foco (36%), infección gastrointestinal (34%) e infección respiratoria (28%). Todos los episodios precisaron hospitalización, presentando sepsis en el 12% y requiriendo ingreso en UCIP.

En 85% de los episodios se extrajo hemocultivo previo inicio de la antibioterapia endovenosa. El 97% de los episodios precisaron antibioterapia endovenosa siendo la ceftazidima el más común inicialmente. En el 58 % de los casos se sustituyó la antibioterapia inicial. Únicamente se recogió hemocultivo de sangre periférica y central en 11% de los episodios. En 54% se detectó agente causal, siendo los microorganismos más frecuentes *E. faecalis*, *C. difficile* y *Rhinovirus*.

4 Conclusiones/ Conclusões

La NF es una complicación frecuente de la QMT en el paciente oncológico infantil y un motivo importante de ingreso hospitalario. Todos los episodios requirieron hospitalización y un 12% ingreso en UCIP. A pesar de que en la mayoría se recogieran cultivos previo al inicio de la antibioterapia endovenosa, sólo se solicitó hemocultivo cualitativo en 8 episodios. Los cultivos resultaron positivos en la mitad de los casos, exponiendo la necesidad de recogida de cultivos cuantitativos en estos episodios.



SEHOP
SOCIEDAD ESPAÑOLA
DE HEMATOLOGÍA Y ONCOLOGÍA
PEDIÁTRICAS

1^{ER} CONGRESO IBÉRICO DE HEMATOLOGIA Y ONCOLOGIA PEDIATRICAS

virtual

21 Y 23 SEPT 2021
28 Y 30 SEPT

C0027 REVISIÓN DE LOS HEMOCULTIVOS EN CONTEXTO DE NEUTROPENIA FEBRIL EN PACIENTES ONCOLÓGICOS PEDIÁTRICOS EN UN HOSPITAL DE TERCER NIVEL DURANTE EL AÑO 2018-2019.

DAVID DIAZ PEREZ, Isabel Atiénzar Esteban (HOSPITAL UNIVERSITARIO SON ESPASES, PALMA , ESPAÑA), Mikael Lorite Reggiori (HOSPITAL UNIVERSITARIO SON ESPASES, PALMA , ESPAÑA), Elena García Macías (HOSPITAL UNIVERSITARIO SON ESPASES, PALMA ESPAÑA,), Samuel Navarro Noguera (HOSPITAL UNIVERSITARIO SON ESPASES, PALMA ESPAÑA,), Laia Ferrès Ramis (HOSPITAL UNIVERSITARIO SON ESPASES, PALMA ESPAÑA), Jose Antonio Salinas Sanz (HOSPITAL UNIVERSITARIO SON ESPASES, PALMA ESPAÑA)

1 Objetivos/ Metas

La neutropenia febril (NF) es una de las causas más frecuentes de ingreso hospitalario en los pacientes oncológicos pediátricos durante su tratamiento. La causa infecciosa es la principal etiología, aunque en aproximadamente la mitad de casos no se filia el agente microbiológico.

Revisar los hemocultivos extraídos durante los episodios de NF en pacientes oncológicos pediátricos en un hospital terciario desde 01/01/18 hasta 31/08/19.

Variables analizadas: edad, sexo, diagnóstico oncológico, necesidad de ingreso hospitalario/ UCI pediátrica, momento en relación a quimioterapia, positividad del hemocultivo (HC), cambio de pauta antibiótica y profilaxis antimicrobiana previa.

2 Material y Métodos/ Material e métodos

Estudio retrospectivo descriptivo de los episodios de NF ocurridos entre el 01/01/18 y el 31/08/19, de pacientes entre 0-18 años en seguimiento por la unidad de hematooncología infantil con antecedente de leucemia, linfoma o tumor sólido

3 Resultados

Se revisaron 75 episodios de NF con una edad media de los pacientes de 9 años, siendo un 58% hombres. En el 61% de los episodios, la NF ocurrió durante el tratamiento con quimioterapia.

Los diagnósticos oncológicos principales fueron leucemia linfoblástica aguda tipo B (44%), leucemia mieloide aguda (15%) y leucemia tipo Burkitt (12%).

El antibiótico empírico inicial más utilizado (64%) fue ceftazidima, con un 75% de sensibilidad para *P. aeruginosa* en nuestro centro. El 95% de los pacientes recibían profilaxis antiinfecciosa (cotrimoxazol).

En 73 episodios se extrajo HC central, previo inicio de la antibioterapia endovenosa. En dos episodios se extrajo HC periférico sin obtener muestra central y se realizó HC cuantitativo en 8/75 episodios (11%).

Se detectaron 11 HC positivos, presentado una rentabilidad de 14.7%, que permitieron modificar el tratamiento antibiótico en función del antibiograma en 4 pacientes.

Solo se obtuvieron 2 HC cuantitativos positivos (central y periférico) en bacteriemia asociada a catéter que requirieron sellado, uno con anfotericina B y otro con vancomicina.

Los gérmenes aislados más frecuentes fueron *Klebsiella* (3 episodios) y *S.epidermidis* (2 episodios).

Todos los episodios requirieron ingreso hospitalario, un 10% en UCIP. La supervivencia global fue del 100%.

4 Conclusiones/ Conclusões

En NF es fundamental la extracción de muestras microbiológicas adecuadas previo al inicio de antibioterapia. Nuestro estudio coincide con la literatura en la baja rentabilidad de los hemocultivos, conllevando antibioterapia empírica prolongada. La realización de HC cuantitativos resulta fundamental para confirmar bacteriemia asociada a catéter y evitar falsos positivos por un procedimiento de extracción inadecuado.



SEHOP
SOCIEDAD ESPAÑOLA
DE HEMATOLOGÍA Y ONCOLOGÍA
PEDIÁTRICAS

1^{ER} CONGRESO IBÉRICO DE HEMATOLOGÍA Y ONCOLOGÍA PEDIÁTRICAS

virtual

21 Y 23 SEPT 2021
28 Y 30 SEPT

CO029 COHORTE MADRILEÑA DE ENFERMEDAD DE CÉLULAS FALCIFORMES, 15 AÑOS DESDE LA IMPLANTACIÓN DEL CRIBADO NEONATAL.

Marina García Morin, Eduardo Bardón Cancho (Oncología y Hematología Pediátricas. Hospital General Universitario Gregorio Marañón, Madrid, España.), Áurea Cervera Bravo (Hematología Pediátrica. Hospital Universitario de Móstoles, Comunidad de Madrid, España.), Lucía Llorente Otones (Hematología Pediátrica. Hospital Universitario de Fuenlabrada, Comunidad de Madrid, España.), Vanesa Pérez Alonso (Oncología y Hematología Pediátricas, Hospital Universitario 12 de Octubre, Madrid, España.), Sonsoles San Román (Oncología y Hematología Pediátricas. Hospital Universitario La Paz, Madrid, España.), Elena Sebastián Pérez (Hematología Pediátrica. Hospital Universitario Niño Jesús, Madrid, España.), Ana Cambra Conejero (Especialista en el Servicio de Bioquímica Clínica en Hospital Gregorio Marañón. Laboratorio de Metabolopatías., Comunidad de Madrid, España.), Elena Cela de Julián (Jefe de Sección, Oncología y Hematología Pediátricas, Hospital General Universitario Gregorio Marañón, Madrid, España)

1 Objetivos/ Metas

El cribado neonatal (CN) de Enfermedad de Células Falciformes (ECF) permite hacer diagnóstico precoz e instaurar medidas como educación sanitaria profilaxis con penicilina y reforzar la vacunación. En mayo de 2003, la Comunidad de Madrid (CM) fue la primera en instaurar el CN de ECF en España. Se estableció el enlace necesario entre la unidad clínica de referencia: consulta de Hematología Infantil del Hospital General Universitario Gregorio Marañón (HGUGM) y el único Laboratorio de CN de la CM.

El objetivo del estudio es evaluar el programa de CN de ECF en la CM tras 15 años desde su implantación, conocer las características de la cohorte madrileña y su morbimortalidad.

2 Material y Métodos/ Material e métodos

Estudio de cohorte multicéntrico, observacional y prospectivo (01/05/2003 - 01/05/2018). Se incluyen pacientes con ECF diagnosticados mediante CN en la CM. Los resultados se expresan en porcentajes y medianas (p25-p75).

3 Resultados

En los 15 años de estudio se han producido 1.038.324 nacimientos, diagnosticándose 187 pacientes con ECF (151 con HbSS, 6 con HbSBeta⁰, 27 con HbSC y 3 con HbSBeta⁺). Prevalencia neonatal de ECF: 1/5552 RN (0,18/1000), prevalencia de rasgo falciforme: 1/213.

Valor predictivo positivo (VPP) del CN: 95%, aumentando a 99,5% tras toma de segunda muestra capilar; especificidad: 99,9%. Todos los pacientes han sido valorados en consulta del HGUGM, edad mediana: 35 días (26-48); el 98% de los pacientes inicia penicilina, mediana de edad: 66 días (61-76).

La cohorte madrileña está compuesta por 84% de pacientes con fenotipo grave. Origen mayoritario de los padres: África subsahariana (73%) y Latinoamérica (23%). A fecha fin de estudio, 69% de los pacientes permanece en seguimiento activo en algún hospital de la CM (mediana de seguimiento: 6,4 años; p25: 2,7 y p75: 10,4). Se han producido 5 fallecimientos, 2 de ellos relacionados con ECF: meningitis por *Streptococcus pneumoniae* 24F (serotipo no vacunal) y enfermedad injerto contra receptor aguda. Supervivencia global en pacientes con fenotipo grave: 94,3% y supervivencia relacionada con la ECF: 96,4%, siendo ambas del 100% en pacientes con HbSC.

Los eventos más frecuentes (expresados como tasas/100 pacientes-año) son hospitalización por fiebre sin foco (46,1), crisis vasooclusivas (39,4), síndromes torácicos agudos (13,3). Otros eventos son crisis aplásica (1,5), osteomielitis (1,3), sepsis (0,54).

El 57% de los pacientes con HbSS/HbSBeta⁰ recibe tratamiento modificador: TPH (9,5%), régimen transfusional (7,6%) o hidroxiurea (50,1%).

4 Conclusiones/ Conclusões

El programa de CN de ECF en la CM presenta criterios de calidad. Los datos de supervivencia se pueden comparar con otros estudios de países desarrollados.



SEHOP
SOCIEDAD ESPAÑOLA
DE HEMATOLOGÍA Y ONCOLOGÍA
PEDIÁTRICAS

1^{ER} CONGRESO IBÉRICO DE HEMATOLOGIA Y ONCOLOGIA PEDIATRICAS

virtual

21 Y 23 SEPT 2021
28 Y 30 SEPT

C0032 CALIDAD DE VIDA EN SUPERVIVIENTES PEDIÁTRICOS DE TUMORES DEL SISTEMA NERVIOSO CENTRAL

RAQUEL OLIVAS MAZÓN, María Martín Cazaña (Servicio Pediatría, Hospital Universitario 12 de Octubre, Madrid, España.), Elena Orellana Felis (Servicio Pediatría, Hospital Universitario 12 de Octubre, Madrid, España.), Vanesa Pérez Alonso (Servicio Pediatría, Hospital Universitario 12 de Octubre, Madrid, España.), María Baro-Fernández (Servicio Pediatría, Hospital Universitario 12 de Octubre, Madrid, España.)

1 Objetivos/ Metas

Conocer la calidad de vida (CV) de un grupo de supervivientes de tumores del sistema nervioso central (TSNC) tratados en una unidad de oncología pediátrica.

2 Material y Métodos/ Material e métodos

Estudio descriptivo de pacientes con antecedente de un TSNC fuera de tratamiento y bajo seguimiento en 2019. Se contactó con los supervivientes y familiares para completar el cuestionario de CV PedsQL™ 4.0 Escala Genérica Corta. Se recogieron también los datos demográficos y clínicos a través de la historia electrónica para su posterior análisis.

3 Resultados

De los 22 participantes, el 59,1% fueron varones y la media de edad fue 11,2 ±4,7 años. La media de edad al diagnóstico fue 5,0±4,0 años y la media de tiempo desde el fin de tratamiento 54,9±33,8 meses.

Por orden de frecuencia, los tumores fueron: 54,5% gliomas, 13,6% embrionarios, 9,1% ependimarios, 9,1% germinales, 9,1% plexos coroideos y 4,5% meníngeos. El 60,1 % fueron de bajo grado y el 40,9 % de alto grado. La localización supratentorial fue la más común (50 %), seguida de la infratentorial (45,5 %) y espinal (4,5 %). Un 4,6 % presentaron recidiva. El 100 % se sometió a algún tipo de neurocirugía, el 54,5 % recibió quimioterapia (16,7 % mieloablativa) y el 36,4 % radioterapia (37,5 % craneoespinal y 62,5 % focal).

Un 77,3% de los supervivientes presentaba algún tipo de secuela (54,5 % neurológicas, 31,8 % endocrinas, 31,8% sensoriales y el 31,8% neuropsicológicas).

Respecto a las puntuaciones medias globales de obtenidas en el cuestionario de CV, aquellos supervivientes diagnosticados a una edad ≤5 años tuvieron una puntuación ligeramente superior a los diagnosticados >5 años: 71,5±5,4 vs 68,9±8,9 (p=0,81). Los pacientes con tumores supratentoriales tuvieron una puntuación global ligeramente menor respecto a los de localización infratentorial: 68,1±8,4 vs 71,7±7,7 (p=0,76). Los supervivientes que recibieron radioterapia no presentaron puntuaciones significativamente menores respecto a los que no (70,2±11,0 vs 70,01±5,0, p=0,98).

No existieron diferencias significativas en las puntuaciones medias globales de los padres y de los hijos al responder el cuestionario (padres 72,3±4,9 vs hijos 70,11±5,2, p=0,77). Las puntuaciones medias de los padres de pacientes que no tenían secuelas fueron significativamente mayores a las de los padres de pacientes que las padecían: 86,7±6,4 vs 64,3±4,3 (p=0,02).

4 Conclusiones/ Conclusões

La CV relacionada con la salud debe ser uno de los parámetros a evaluar en el seguimiento de los supervivientes de TSNC. Son necesarios más estudios para establecer sus principales factores determinantes.



SEHOP
SOCIEDAD ESPAÑOLA
DE HEMATOLOGÍA Y ONCOLOGÍA
PEDIÁTRICAS

1^{ER} CONGRESO IBÉRICO DE HEMATOLOGIA Y ONCOLOGIA PEDIATRICAS

virtual

21 Y 23 SEPT 2021
28 Y 30 SEPT

C0034 ETNIA NO CAUCÁSICA COMO FACTOR DE RIESGO DE SÍNDROME DE OBSTRUCCION SINUSOIDAL TRAS TRASPLANTE DE PROGENITORES HEMATOPOYÉTICOS

Iván López Torija, Blanca Molina Angulo (Hospital Universitario Niño Jesús), Alba Peretó Moll (Hospital Clínico de Valencia), Marta González Vicent (Hospital Universitario Niño Jesús), Miguel Ángel Díaz Pérez (Hospital Universitario Niño Jesús)

1 Objetivos/ Metas

El síndrome de obstrucción sinusoidal (SOS) es una complicación del trasplante de progenitores hematopoyéticos (TPH) con altas tasas de morbi-mortalidad. Es importante identificar los factores de riesgo para facilitar profilaxis y tratamiento precoz.

2 Material y Métodos/ Material e métodos

Se analiza la incidencia de SOS moderado-grave en 126 pacientes pediátricos con hemopatías malignas sometidos a TPH haploidéntico, en el periodo de tiempo entre 2007 y 2017, con el objetivo principal de analizar los factores de riesgo.

La mediana de edad de los pacientes es de 9 años (1-19) siendo 85 de ellos hombres. En los últimos años hemos objetivado un aumento de pacientes procedentes de América Latina, siendo 31 de los casos analizados. En relación a la patología, 69 pacientes tienen Leucemia Linfoblástica Aguda o Linfoma y 65 Leucemia Mieloblástica Aguda o Síndromes Mielodisplásicos. Se trasplantan 34 pacientes en primera remisión completa (RC), 51 en segunda RC y 49 con enfermedad avanzada.

El SOS fue diagnosticado utilizando los Criterios de Seattle modificados siendo retrospectivamente validados con el sistema propuesto por EBMT.

3 Resultados

De los 134 pacientes evaluados, 7 cumplen criterios de SOS, con una incidencia acumulada de 5.22%. Todos ellos han sido tratados con defibrotide, 6 de ellos respondieron y 1 falleció por fallo multiorgánico.

Se analizan los factores de riesgo de SOS en nuestra muestra, siendo la etnia el principal. La incidencia de SOS en pacientes latinoamericanos es de 17.52% vs 2% en pacientes caucásicos, ($p=0.029$).

En el análisis de regresión logística la etnia no caucásica incrementa el riesgo de SOS cerca de 5 veces (HR 4.94, 95% CI: 1.1-23.41, $p=0.04$). Cuando comparamos las dos poblaciones la única diferencia es una mayor incidencia de donantes con genotipo KIR-A en pacientes latinoamericanos.

En el día +100 la mortalidad relacionada con el trasplante es de 8% en pacientes sin SOS vs 57% en pacientes con SOS ($p=0.0001$), con una media de seguimiento de 4 años la supervivencia global es de 53 +/- 5%.

4 Conclusiones/ Conclusões

En nuestra experiencia la etnia hispana es el principal factor de riesgo de SOS y debe ser considerado como indicación de profilaxis.

Las variables entre etnias en los polimorfismos genéticos en las vías enzimáticas de metabolización hepática influyen en las toxicidades relacionadas con el TPH.

Es necesario la realización de la más estudios para analizar el papel de la etnia en el SOS y corroborar nuestros hallazgos, además de incluir a la población latinoamericana en los estudios farmacogenéticos, en los cuales no tienen representación.



SEHOP
SOCIEDAD ESPAÑOLA
DE HEMATOLOGÍA Y ONCOLOGÍA
PEDIÁTRICAS

1^{ER} CONGRESO IBÉRICO DE HEMATOLOGIA Y ONCOLOGIA PEDIATRICAS

virtual

21 Y 23 SEPT 2021
28 Y 30 SEPT

C0035 AFECTACIÓN DEL SISTEMA NERVIOSO CENTRAL POR ENFERMEDAD INJERTO CONTRA HUESPED CRÓNICA. A PROPÓSITO DE UN CASO.

Iván López Torija, Blanca Molina Angulo (Hospital Universitario Niño Jesús), Marta González Vicent (Hospital Universitario Niño Jesús.), Alba Peretó Moll (Hospital Clínico Valencia), María Isabel Iglesias (Hospital Universitario Niño Jesús. UCIP), Montserrat Nieto (Hospital Universitario Niño Jesús. UCIP), Miguel Ángel Díaz Pérez (Hospital Universitario Niño Jesús)

1 Objetivos/ Metas

Las complicaciones neurológicas asociadas a la Enfermedad Injerto contra Huésped (EICH) son raras, pero debemos conocerlas porque pueden ser una causa importante de mortalidad. El caso clínico que presentamos, es característico de esta entidad tan poco frecuente.

2 Material y Métodos/ Material e métodos

Paciente de 12 años, con Sd de Hiper IgM, sometido a trasplante de progenitores hematopoyéticos de médula ósea de donante familiar idéntico. Como complicaciones destaca EICH agudo cutáneo grado IV y a los 6 meses postrasplante EICH crónico reagudizado grave con afectación hepática, con respuesta parcial a 4 líneas de tratamiento.

Un año después ingresa por episodio de mioclonías en miembro inferior izquierdo y hemiadomen ipsilateral de 24 horas de evolución. Afebril. En las siguientes horas presenta empeoramiento grave hasta un estado de afasia, tetraplejía y disminución del nivel de conciencia, con necesidad de traslado a UCI donde se induce coma barbitúrico. Se realizan estudios microbiológicos en sangre y LCR, RMN y video-EEG. Todos las pruebas microbiológicas resultarían negativas. La RMN presenta edema vasogénico y el video-EEG patrón paroxístico de polipunta en vértice y hemisferio izquierdo.

Se amplían estudios para causas autoinmunes o enfermedades por depósito.

3 Resultados

La primera etiología a descartar es la infecciosa, sin embargo, todos los estudios microbiológicos realizados son negativos.

Nos da la clave del diagnóstico la positividad de Anticuerpos anti peroxidasa tiroidea (AcTPO) tanto en sangre (166 U/ml; N< 50 U/ml) como en LCR (60 U/ml; N< 8 U/ml). Se diagnostica de ENCEFALITIS DE HASHIMOTO como manifestación de EICH CRÓNICO A NIVEL DEL SISTEMA NERVIOSO CENTRAL. Se inicia tratamiento con corticoides, inmunoglobulinas, plasmaféresis y ciclofosfamida, con descenso de AcTPO. Sin embargo fallece a las dos semanas. La necropsia muestra en cerebro infiltración linfocitaria de sustancia gris, de predominio CD3+ CD8+. No se observan linfocitos CD20+. La proliferación de células microgliales CD68+ confirma en diagnóstico de EICH crónico.

4 Conclusiones/ Conclusões

Las complicaciones neurológicas de la EICH fueron descritas en el año 2010 estableciéndose tres tipos. Nuestro paciente se encuentra en el grupo de encefalitis inmune, caracterizado por infiltración de linfocitos T citotóxicos (CD3+, CD8+) y células monocíticas/microglia (CD68+).

También presentó aumento de AcTPO en sangre y LCR compatible con encefalitis de Hashimoto. Entidad rara, más aún asociada al EICH crónico.

Esta entidad es poco frecuente, pero debe incluirse en el diagnóstico diferencial si afectación encefálica en pacientes postrasplantados sin aislamiento microbiológico. Además es necesario estudiar de forma rutinaria en el EICH crónico los AcTPO. Todo ello para un diagnóstico y tratamiento precoz.



SEHOP
SOCIEDAD ESPAÑOLA
DE HEMATOLOGÍA Y ONCOLOGÍA
PEDIÁTRICAS

1^{ER} CONGRESO IBÉRICO DE HEMATOLOGÍA Y ONCOLOGÍA PEDIÁTRICAS

virtual

21 Y 23 SEPT 2021
28 Y 30 SEPT

C0037 ANÁLISIS DEL TRATAMIENTO DE LA RECAÍDA DE LA LEUCEMIA AGUDA LINFOBLÁSTICA EN NIÑOS Y SUS RESULTADOS EN ESPAÑA EN LOS ÚLTIMOS 5 AÑOS.

Eduardo Ramos Elbal, Alicia Sanmartín Sánchez (Hospital Clínico Universitario Virgen de la Arrixaca Murcia, España), Mercedes Plaza Fornieles (Hospital Clínico Universitario Virgen de la Arrixaca Murcia, España), Ana María Galera Miñarro (Hospital Clínico Universitario Virgen de la Arrixaca, Murcia, España), María Esther Llinares Riestra (Hospital Clínico Universitario Virgen de la Arrixaca, Murcia, España), María del Mar Bermúdez Cortés (Hospital Clínico Universitario Virgen de la Arrixaca, Murcia, España), Jose Luis Fuster Soler (Hospital Clínico Universitario Virgen de la Arrixaca, Murcia, España)

1 Objetivos/ Metas

Comparar la forma de presentación, el tratamiento y sus resultados en niños diagnosticados de recaída de LAL en España en los últimos 5 años y analizar si el inmunofenotipo de la leucemia influyó en la elección del tratamiento (estandarizado frente a individualizado) y si dicha elección tuvo un impacto en los resultados.

2 Material y Métodos/ Material e métodos

Se recogieron datos de los pacientes diagnosticados de LAL y tratados en primera línea según la guía "SEHOP-PETHEMA 2013" de la Sociedad Española de Hematología y Oncología Pediátricas (SEHOP) que habían sufrido una recaída y de todos los pacientes registrados en la guía "SEHOP-PETHEMA 2015" para el tratamiento de la recaída (tratamiento "estandarizado"). Se comparó la distribución de los pacientes con recaída de LAL-T y LAL-pB atendiendo a: tiempo transcurrido hasta la recaída, localización y grupo de riesgo de la recaída, tratamiento escogido y resultados.

3 Resultados

Se recogieron 185 casos de los que 110 (22 LAL-T y 88 LAL-pB) fueron aptos para el análisis. La proporción de pacientes con recaída muy precoz y de alto riesgo fue superior en el grupo de LAL-T. La LAL-T obtiene peores resultados de supervivencia global. Los casos de LAL-T y de alto riesgo tienden a tratarse de forma individualizada.

4 Conclusiones/ Conclusões

Los resultados en el tratamiento de la recaída de LAL en niños son muy pobres con tratamiento estándar, especialmente en las recaídas de LAL-T y las de alto riesgo. Es preciso desarrollar estrategias terapéuticas alternativas a la quimioterapia estándar y la radioterapia para mejorar estos resultados.



SEHOP
SOCIEDAD ESPAÑOLA
DE HEMATOLOGÍA Y ONCOLOGÍA
PEDIÁTRICAS

1^{ER} CONGRESO IBÉRICO DE HEMATOLOGÍA Y ONCOLOGÍA PEDIÁTRICAS

virtual

21 Y 23 SEPT 2021
28 Y 30 SEPT

C0038 PACIENTES INCLUIDOS EN ENSAYOS CLÍNICOS FASE I, II Y III EN EL SERVICIO DE HEMATOLOGÍA Y ONCOLOGÍA PEDIÁTRICAS DEL HOSPITAL VALL D'HEBRON (VH), BARCELONA, ESPAÑA

Andrea Vilaplana Blanes, Raquel Hladun Álvaro (Área de Oncología y Hematología Pediátricas, Hospital Vall d'Hebron, Barcelona, España), Aina Espuña Núñez (Área de Oncología y Hematología Pediátricas, Hospital Vall d'Hebron, Barcelona, España), Carlota Aguilera Ordóñez (Área de Oncología y Hematología Pediátricas, Hospital Vall d'Hebron, Barcelona, España), Elena Andretta (Área de Oncología y Hematología Pediátricas, Hospital Vall d'Hebron, Barcelona, España), Lorena Valero Arrese (Área de Oncología y Hematología Pediátricas, Hospital Vall d'Hebron, Barcelona, España), Verónica Fernández Angulo (Área de Oncología y Hematología Pediátricas, Hospital Vall d'Hebron, Barcelona, España), Lucas Moreno Martín-Retortillo (Área de Oncología y Hematología Pediátricas, Hospital Vall d'Hebron, Barcelona, España)

1 Objetivos/ Metas

A pesar de las buenas cifras de supervivencia para la mayoría de los cánceres infantiles, enfermedades como el neuroblastoma de alto riesgo, los tumores del SNC o los sarcomas metastásicos tienen malos resultados. Si bien los nuevos medicamentos contra el cáncer están aumentando en la oncología de adultos, brindar acceso a terapias innovadoras para los niños con cáncer sigue siendo un desafío. En los últimos años han surgido nuevos enfoques terapéuticos y terapias dirigidas que buscan mejorar la supervivencia de estos pacientes. Nuestro objetivo es estudiar la facilidad en el acceso de los pacientes a participar en ensayos clínicos de Fase I y II de nuevos fármacos, y la participación en ensayos de Fase III; así como analizar la evolución de los datos a lo largo del tiempo.

2 Material y Métodos/ Material e métodos

Análisis retrospectivo de pacientes incluidos en ensayos clínicos en el servicio de Hematología y Oncología Pediátricas del Hospital Vall d'Hebron (VH), Barcelona, España. Se han analizado los datos recopilados entre 2015 y 2020 (últimos 6 años). Se analizaron descriptivamente las características de los ensayos y de los pacientes reclutados (consentimiento informado firmado) en dos períodos: 2015-2017 y 2018-2020.

3 Resultados

Un total de 138 pacientes pediátricos participaron en un ensayo clínico en nuestro hospital entre 2015 y 2020, 37 de los cuales entraron en un fase 1, 27 fase 2 y 74 fase 3. La media de edad fue de 7,81 (rango 2 meses - 20 años). De estos, 48 pacientes (34,8%) fueron reclutados entre 2015-2017 y 90 (65,2%) entre 2018-2020. Para los ensayos de fase 1-2, se reclutaron 20 pacientes (30,3%) entre 2015-2017 y 44 (66,7%) entre 2018-2020.

En este período, los ensayos clínicos de fases tempranas que incluyeron un nuevo agente dirigido fueron 9 de 11 de los casos (81,8%) durante 2015-2017 frente a 20 de 22 (90,9%) durante 2018-2020. Para los ensayos de fase 3, solo 6 de 17 (35,3%) incluyeron agentes dirigidos.

4 Conclusiones/ Conclusões

La inclusión de pacientes en ensayos clínicos ha experimentado un gran aumento en los últimos años. Se estima que este incremento continuará facilitando el acceso a tratamientos innovadores a un mayor número de pacientes oncológicos pediátricos; dando lugar a mejoras en la calidad del tratamiento, la eficacia de nuevos medicamentos y logrando mayores tasas de supervivencia y una mejor calidad de vida.



SEHOP
SOCIEDAD ESPAÑOLA
DE HEMATOLOGÍA Y ONCOLOGÍA
PEDIÁTRICAS

1^{ER} CONGRESO IBÉRICO DE HEMATOLOGIA Y ONCOLOGIA PEDIATRICAS

virtual

21 Y 23 SEPT 2021
28 Y 30 SEPT

C0040 ACIDOSIS E HIPERLACTACIDEMIA: EL EFECTO WARBURG. A PROPOSITO DE UN CASO.

ALBA FERNANDEZ GOMEZ, Pablo Velasco Puyo (Servicio de Oncología y Hematología pediátricas, Hospital Universitario Vall D'Hebron. Barcelona. España.), Cristina Díaz de Heredia (Servicio de Oncología y Hematología pediátricas, Hospital Universitario Vall D'Hebron. Barcelona. España.), Lucas Moreno Martín-Retortillo (Servicio de Oncología y Hematología pediátricas, Hospital Universitario Vall D'Hebron. Barcelona. España.), Luis Gros Subías (Servicio de Oncología y Hematología pediátricas, Hospital Universitario Vall D'Hebron. Barcelona. España.)

1 Objetivos/ Metas

En 1920, Otto Warburg describió el mecanismo por el cual las células neoplásicas consumen gran cantidad de glucosa así como la fermentación de ésta a lactato, en lugar de oxidarse en vías que requieren respiración. Este efecto, también llamado "glucólisis aeróbica", ha sido ampliamente descrito por generaciones de científicos. Sin embargo, todavía existen muchas incógnitas en la patogénesis y función de este proceso. A continuación, presentamos el caso de un paciente pediátrico con acidosis láctica en el momento del diagnóstico.

2 Material y Métodos/ Material e métodos

Paciente de cinco años de edad, con antecedente de Leucemia aguda linfoblástica de riesgo intermedio diagnosticada y tratada a los dos años de edad, alcanzado remisión completa. Presenta a los 18 meses del fin de tratamiento recaída de Leucemia aguda linfoblástica aislada en médula ósea. Inicia tratamiento quimioterápico (según IntReALL 2010 RE). Previo inicio de infusión de metotrexate en 24 horas, se objetiva acidosis metabólica con elevación de lactato e hipocalcemia (pH 7,22, pCO₂ 25mmHg, exceso de base -17,5mmol/L, HCO₃ 10mmol/L, lactato 15mmol/L, anion GAP 30 mmol/L; sodio 135mmol/L; potasio 2,8mmol/L, calcio 3,3mg/dl). El paciente presentó hipocalcemia sintomática con tetania en extremidades. El tratamiento quimioterápico fue suspendido y se corrigieron las alteraciones electrolíticas mediante fluidoterapia con bicarbonato, acetato y tratamiento con gluconato cálcico intravenoso. El paciente ingreso en UCI para monitorización estrecha. Además se objetivó hipercalciuria e hiperfosfaturia, secundarias probablemente a disfunción tubular en contexto de la acidosis metabólica del paciente.

3 Resultados

Tras descartar otras causas de acidosis metabólica (infección activa, hipoglucemia, hipoxia o alteraciones innatas del metabolismo) se concluyó que la causa más probable de la acidosis de nuestro paciente fue la acidosis láctica inducida por la recaída de leucemia aguda linfoblástica. Tras 48 horas de tratamiento de soporte, la acidosis se resolvió y la quimioterapia se reanudó de acuerdo a protocolo, sin presentar alteraciones metabólicas posteriores ni complicaciones durante el tratamiento.

4 Conclusiones/ Conclusões

El efecto Warburg podría suponer una adaptación metabólica de las de las células neoplásicas. Así, constituye una rápida fuente de energía, supone un mecanismo de adaptación a la hipoxia, provoca una acidificación del microambiente que sería beneficiosa para el crecimiento tumoral y podría estar implicado en vías de señalización tumoral.

En la bibliografía hay más casos reportados en adultos, en patología hematológica maligna y en pacientes con disfunción renal o hepática asociada.

Tiene una elevada mortalidad y el tratamiento se basa en medidas de soporte y sobre todo en el tratamiento específico de la patología neoplásica, siendo éste fundamental.



SEHOP
SOCIEDAD ESPAÑOLA
DE HEMATOLOGÍA Y ONCOLOGÍA
PEDIÁTRICAS

1^{ER} CONGRESO IBÉRICO DE HEMATOLOGIA Y ONCOLOGIA PEDIATRICAS

virtual

21 Y 23 SEPT 2021
28 Y 30 SEPT

C0043 UN RETO ASISTENCIAL: CERTIFICACIÓN DE LA VÍA CLÍNICA ATENCIÓN AL PACIENTE ONCOHEMATOLÓGICO PEDIÁTRICO.

Macarena González Cruz, Ismael Noah Melian Mora (Enfermería Pediátrica. Hospital Universitario de Canarias.), Cristina Martínez Faci (Pediatria, Hospital Universitario de Canarias La Laguna, España), Ana Belén Caparrós Nieto (Pediatria, Hospital Universitario de Canarias La Laguna, España)

1 Objetivos/ Metas

La estandarización de la atención sanitaria es un reto al cual nos enfrentamos los profesionales de la salud. Aunque existen múltiples acciones para su desarrollo, los sistemas de gestión de calidad se han postulado con fuerza en la sanidad pública en los últimos años, es por ello que el desarrollo, instauración y evaluación deben ser potenciados por la administración.

La Atención al Paciente Oncohematológico Pediátrico supone un desafío para los sanitarios debido a la alta cualificación que deben desarrollar para cada situación específica, haciendo que un abordaje eficiente no sea fácil. Debido a esto, hemos realizado la creación e instauración de una vía clínica para la atención de estos pacientes en nuestro hospital, siendo Unidad de Pediatría referente en la atención de estos pacientes, situándonos como pioneros en esta labor. Esta vía clínica (SGC_OHP), ha sido certificada por AENOR en 2019 y renovada anualmente hasta la actualidad. La piedra angular sobre la que hemos erigido nuestro proceso ha sido la colaboración multidisciplinar, especialmente entre las enfermeras y médicas, poniendo en valor el trabajo en equipo y demostrando la importancia de la participación de todas las involucradas en la atención del paciente para conseguir una atención eficiente y equitativa.

Objetivos

- Sensibilizar a los profesionales sanitarios sobre la importancia de la estandarización de la asistencia, base de la calidad asistencial.
- Mostrar las fases que hemos atravesado para instaurar el SGC-OHP y las diferentes dificultades que hemos enfrentado, así como su resolución.
- Reflexionar sobre los nuevos retos sanitarios en los sistemas de gestión de calidad y su abordaje en la sanidad pública.

2 Material y Métodos/ Material e métodos

Procedimiento habitual para la certificación de una vía clínica.

3 Resultados

Certificación de SGC_OHP en 2019 por AENOR y renovación de certificación anualmente hasta la actualidad.

4 Conclusiones/ Conclusões

Los profesionales sanitarios debemos reflexionar sobre la importancia de la aplicación de los sistemas de gestión de calidad, asentando la base futura para una atención sanitaria basada, entre otras, en la seguridad del paciente, la reducción de la variabilidad clínica, la eficiencia y la equidad.



SEHOP
SOCIEDAD ESPAÑOLA
DE HEMATOLOGÍA Y ONCOLOGÍA
PEDIÁTRICAS

1^{ER} CONGRESO IBÉRICO DE HEMATOLOGÍA Y ONCOLOGÍA PEDIÁTRICAS

virtual

21 Y 23 SEPT 2021
28 Y 30 SEPT

C0046 PROGRAMA PARA LA PERSONALIZACIÓN DEL TRATAMIENTO DE LA LLA PEDIÁTRICA

María Micaela Viña Romero (Farmacia, Hospital Universitario de Nuestra Señora de la Candelaria, SC de Tenerife, España), Macarena González Cruz, Héctor González Méndez (Hematología, Hospital Universitario de Nuestra Señora de la Candelaria SC de Tenerife, España), Cristina Martínez Faci (Pediatria, Hospital Universitario de Canarias SC de Tenerife España), Ruth Ramos Díaz (Bióloga, FIISC Canarias, España), Gloria Julia Nazco Casariego (Farmacia, Hospital Universitario de Canarias SC de Tenerife, España), Javier Merino Alonso (Farmacia, Hospital Universitario de Nuestra Señora de la Candelaria SC de Tenerife, España), Fernando Gutiérrez Nicolás (Farmacia, Hospital Universitario de Canarias, SC de Tenerife, España)

1 Objetivos/ Metas

En el presente trabajo se muestra, en el seno de un equipo multidisciplinar entre pediatría, hematología y farmacia, un programa diseñado para la personalización del tratamiento de la LLA en el paciente pediátrico, mediante:

- Monitorización de la actividad plasmáticas de asparaginasa (ASPasa).
- Genotipado de polimorfismos que condicionan la farmacodinamia del metotrexato (MTX) y mercaptopurina (6-MP).
- Control en la elaboración y administración del jarabe de mercaptopurina.

2 Material y Métodos/ Material e métodos

Este trabajo muestra la implantación de un programa multicéntrico y prospectivo para la individualización del tratamiento de la LLA en pacientes oncohematológicos pediátricos, mediante el uso de la farmacocinética, la farmacogenética y la formulación magistral.

Mediante la farmacogenética, se trata de identificar los pacientes de alto riesgo de intoxicación tras la infusión de MTX, así como con riesgo de aplasia grave asociado al uso de 6-MP.

Además, aporta al clínico prescriptor una información sobre los niveles plasmáticos de actividad ASPasa y detección de inactivaciones silentes.

Por último, permite confirmar, al menos en parte, la correcta administración de la solución de 6-MP, por parte de los padres, así como la uniformidad de contenido de la elaboración de la formulación desde el servicio de farmacia.

3 Resultados

El programa se inició en el año 2017. Actualmente han sido incluidos un total de 26 pacientes.

Se han realizado un total de 236 determinaciones genéticas, 272 determinaciones de actividad asparaginasa y se ha puesto a punto un método de determinación de la concentración de 6-MP en los jarabes elaborados.

El programa ha permitido identificar una inactivación silente, confirmar que todas las preparaciones de la suspensión de 6-MP presentaron una uniformidad de contenido adecuada, detectar una incorrecta administración del jarabe de 6-MP por parte de los tutores de un paciente, e identificar en 6 pacientes perfiles de genéticos de alto riesgo de toxicidad al MTX.

4 Conclusiones/ Conclusões

El presente trabajo es una muestra un programa para la personalización en el tratamiento de la LLA pediátrica, extrapolable a cualquier centro con unas mínimas estructuras para realizar técnicas analíticas y moleculares, dentro de la rutina clínica habitual.



SEHOP
SOCIEDAD ESPAÑOLA
DE HEMATOLOGÍA Y ONCOLOGÍA
PEDIÁTRICAS

1^{ER} CONGRESO IBÉRICO DE HEMATOLOGIA Y ONCOLOGIA PEDIATRICAS

virtual

21 Y 23 SEPT 2021
28 Y 30 SEPT

C0047 MONITORIZACIÓN DE LA ACTIVIDAD PLASMÁTICA DE ASPAGINASA, EXPERIENCIA MULTICÉNTRICA

Macarena González Cruz (Pediatria, Hospital Universitario de Canarias SC de Tenerife, España), María Micaela Viña Romero (Farmacia, Hospital Universitario Nuestra Señora de la Candelaria SC de Tenerife, España), Héctor Gonzáles Méndez (Hematología, Hospital Universitario Nuestra Señora de la Candelaria SC de Tenerife, España), Cristina Martínez Faci (Pediatria, Hospital Universitario de Canarias SC de Tenerife España.), Ana Belén Caparrós Nieto (Pediatria, Hospital Universitario de Canarias SC de Tenerife España.), Gloria Julia Nazco Casariego (Farmacia, Hospital Universitario de Canarias SC de Tenerife, España), Javier Merino Alonso (Farmacia, Hospital Universitario Nuestra Señora de la Candelaria SC de Tenerife España.), **Fernando Gutiérrez Nicolás**

1 Objetivos/ Metas

Una de las estrategias que mejores resultados ha mostrado en el tratamiento de la Leucemia Linfoblástica Aguda (LLA), ha sido la depleción plasmática de los niveles de asparagina, que ha permitido reducir las tasas de recaída en más de un 70%. Sin embargo, para lograr esta eficacia, es necesario mantener valores plasmáticos valles de actividad ASPasas superiores a 100 UI/L durante todo el periodo de tratamiento (Van der Sluis,2016).

El objetivo del presente estudio ha consistido en mostrar la experiencia con la monitorización de la actividad de ASPasa en la población pediátrica en condiciones de práctica clínica habitual.

2 Material y Métodos/ Material e métodos

Estudio multicéntrico, prospectivo y multidisciplinar (Farmacia, pediatría y hematología) de 4 años de duración (2017-2021) sobre la monitorización la actividad plasmática de asparaginasa (ASPasa) en pacientes pediátricos la Leucemia Linfoblástica Aguda (LLA).

Los datos clínicos y demográficos de los pacientes has sido obtenidos de las historias clínicas de los pacientes. La determinación de la actividad asparaginasa, ha sido determinada con *Kit* validado MAAT® de Medac.

Se obtuvo el consentimiento informado de todos los pacientes y tutores legales antes de participar en el estudio.

3 Resultados

En el estudio han sido incluidos un total de 24 pacientes con una media de edad de 6,1 (1-16) años de los que el 41,6% fueron varones.

Se han determinados 272 niveles plasmáticos de actividad ASPasa:

37 correspondientes a la forma derivada de *Erwinia* (*Erwi-ASPasa*)

235 de *E. coli* pegilada (*PEG-ASPasa*). El 19,5% fueron realizadas el día +7.

El 2,2% de los valores fueron inferiores a 100 UI/L y fue identificada un inactivación silente en uno de los pacientes (4,1%). Este paciente se encontraba en tratamiento con *Erwi-ASPasa*, cuyo tratamiento había sido prescrito como consecuencia de una reacción anafiláctica previa con PEG-ASPasa.

4 Conclusiones/ Conclusões

La monitorización de la actividad plasmática de ASPasa, se ha posicionado como una herramienta en la personalización y optimización del tratamiento de la LLA pediátrica con ASPasa. En nuestra población de estudio se ha producido un cerca de un 5% de inactivaciones silente, acorde con los últimos datos publicados.

Con el presente estudio hemos mostrado, bajo la tutela de un trabajo multidisciplinar, la posibilidad de monitorizar los niveles plasmáticos de actividad de ASPasa en condiciones de práctica clínica habitual, con el fin de que sea extensible al resto de hospitales del SNS. Análisis a largo plazo, permitirán evaluar el impacto en la eficacia de esta monitorización.



SEHOP
SOCIEDAD ESPAÑOLA
DE HEMATOLOGÍA Y ONCOLOGÍA
PEDIÁTRICAS

1^{ER} CONGRESO IBÉRICO DE HEMATOLOGIA Y ONCOLOGIA PEDIATRICAS

virtual

21 Y 23 SEPT 2021
28 Y 30 SEPT

C0048 DETERMINACIÓN DE POLIMORFISMOS GENÉTICOS EN TPMT Y NUDT-15 EN EL PACIENTE ONCO-HEMATOLÓGICO PEDIÁTRICO. RESULTADOS PRELIMINARES

Macarena González Cruz (Pediatria, Hospital Universitario de Canarias SC de Tenerife, España), María Micaela Viña Romero (Farmacia, Hospital Universitario Nuestra Señora de la Candelaria SC de Tenerife, España), Héctor González Méndez (Hematología, Hospital Universitario Nuestra Señora de la Candelaria SC de Tenerife España.), Cristina Martínez Faci (Pediatria, Hospital Universitario de Canarias SC de Tenerife España.), Ruth Ramos Díaz (Biologa, FIISC. Canarias, España), Julia Nazco Casariego (Farmacia, Hospital Universitario de Canarias SC de Tenerife, España), Javier Merino Alonso (Farmacia, Hospital Universitario Nuestra Señora de la Candelaria SC de Tenerife España.), **Fernando Gutiérrez Nicolás**

1 Objetivos/ Metas

La 6-mercaptopurina (6-MP) es uno de los pilares del tratamiento de la leucemia linfoblástica aguda (LLA). Es un fármaco que para su metabolismo requiere de la acción de la enzima tiopurina-metiltransferasa (TPMT). Una baja actividad en esta enzima implica un acúmulo de la 6-MP que induce a un mayor riesgo de toxicidad. Diversos polimorfismos genéticos en el gen que codifica para la TPMT y en el gen de la Nudix-hidrolasa15 (NUDT15) se han correlacionado con una baja, o nula, actividad de la TPMT, y por tanto, con un mayor riesgo de toxicidad.

El objetivo del presente estudio ha consistido en describir la implementación de la determinación de los polimorfismos en TPMT y NUDT15 en pacientes pediátricos mediante un método sencillo y económico.

2 Material y Métodos/ Material e métodos

Se realizó un estudio multicéntrico, prospectivo y con una duración prevista de 4 años (enero 2017-2021). Donde se incluyeron los pacientes pediátricos en tratamiento con 6-MP.

Los polimorfismos analizados (SNP) fueron:

TPMT(rs1800462;rs1800462;rs1800460;rs1142345;rs1800584)

NUDT15(rs116855232;rs147390019;rs554405994;rs186364861)

La extracción de ADNg se realizó mediante lisis alcalina (Ramos et al.(2015)) y el genotipado se realizó mediante PCR a tiempo real, empleando sondas de fluorescencia específicas de alelo.

3 Resultados

Han sido incluidos 26 pacientes, con una edad media de 5,4 (1-16), el 57,7% de ellos mujeres. Todos los pacientes tuvieron un diagnóstico de LLA, salvo dos linfoma no hodgkin (7,7%).

Se realizaron 236 determinaciones genéticas.

Dos de los niños mostraron un genotipo de riesgo medio *1/*3B,*1/*3C, pero se pudo alcanzar dosis plenas de 6-MP en ambos casos. Ambos mostraron un genotipo de tipo salvaje para NUDT15.

Un tercer paciente mostró un genotipo heterocigoto para el rs116855232 y el rs554405994 (NUDT15). Se decidió iniciar con dosis plenas, pero a los 2 meses de tratamiento con 6 MP hubo que reducir la dosis (80%), por neutropenia grado 3.

El coste asociado a las determinaciones (9) ha sido 12,5€, y el tiempo necesario, incluyendo la determinación de ADNg, de 4,5h.

4 Conclusiones/ Conclusões

Aunque hasta la fecha no hemos detectado un paciente portador de polimorfismos de alto riesgo en TPMT/NUDT15, defendemos la realización de este cribado ya que la presencia de estos genotipos se relaciona con toxicidad severa e incluso mortal.

La metodología desarrollada permite su implementación en la rutina diaria de nuestros hospitales, tanto por la simplificada técnica como por los costes asociados



SEHOP
SOCIEDAD ESPAÑOLA
DE HEMATOLOGÍA Y ONCOLOGÍA
PEDIÁTRICAS

1^{ER} CONGRESO IBÉRICO DE HEMATOLOGÍA Y ONCOLOGÍA PEDIÁTRICAS

virtual

21 Y 23 SEPT 2021
28 Y 30 SEPT

C0049 ACTIVIDAD ASPARAGINASA DÍA +7 COMO VALOR PREDICTIVO

María Micaela Viña Romero (Farmacia, Hospital Universitario Nuestra Señora de la Candelaria SC de Tenerife, España), Macarena González Cruz, Héctor González Méndez (Hematología, Hospital Universitario Nuestra Señora de la Candelaria SC de Tenerife España.), Cristina Martínez Faci (Pediatria, Hospital Universitario de Canarias SC de Tenerife España.), Ruth Ramos Díaz (Bióloga, FIISC, Canarias. España), Gloria Julia Nazco Casariego (Farmacia, Hospital Universitario de Canarias SC de Tenerife, España), Javier Merino Alonso (Farmacia, Hospital Universitario Nuestra Señora de la Candelaria SC de Tenerife España.), Fernando Gutiérrez Nicolás (Farmacia, Hospital Universitario de Canarias , SC de Tenerife, España)

1 Objetivos/ Metas

Salzer y col (2018) establecieron un algoritmo de decisión terapéutica sobre el uso de la asparaginasa pegilada (PEG-ASPasa) basado en el nivel de actividad ASPasa del día +7 como predictivo del valor de actividad del día +14:

- > 500 UI/L, no es necesario monitorizar el día +14
- 100-500 UI/L, es aconsejable monitorizar el día +14
- < 100 UI/L, cambiar de ASPasa.

El objetivo del presente estudio ha consistido en describir nuestra experiencia en la monitorización plasmática de la actividad de la PEG-ASPasa para validar el valor predictivo del día +7, en condiciones de práctica clínica habitual y aportar más información sobre la hipótesis propuesta por Salzer et al.

2 Material y Métodos/ Material e métodos

Estudio multicéntrico, prospectivo de 36 meses de duración (enero 2017-enero 2020), en el que se incluyeron todos aquellos pacientes menores de 18 años que recibieron tratamiento con asparaginasa pegilada (ASPasa-PEG), según recomendaciones LAL/SEHOP-PETHEMA (enmienda 27/11/2016). Los datos clínicos y demográficos fueron obtenidos de las historias clínicas de los pacientes.

La toma de muestra sanguínea se realizó los días +7 y +14 post administración ASPasa-PEG.

La determinación de la actividad asparaginasa, fue realizada empleando el kit Asparaginase-Aktivitäts-Test Medac®.

3 Resultados

Durante el periodo de estudio han sido incluidos un total de 16 pacientes. El 50% varones, y la edad media fue de 4,2 años de edad (0-14).

Para este análisis se han realizado un total de 56 niveles de actividad ASP-PEG: 28 correspondientes al día +7 y 28 el día +14.

El valor medio de actividad del día +7 fue de 554,3 UI/L (998,8-262,4). Todos los valores >100 UI/L: el 72,5% con valores >500 UI/L y el 27,5% 100-500 UI/L.

El valor medio de actividad del día +14 fue de 239,9 UI/L (335,5-125,0). En ningún caso se obtuvo un valor <100 UI/L.

4 Conclusiones/ Conclusões

Nuestros resultados apoyan la alternativa descrita por Salzer et al, sobre el uso del valor de actividad plasmática ASPasa del día +7 como valor predictivo del día +14. Por tanto, creemos que la monitorización de estos valores intermedios se muestra como estrategia que permite identificar tempranamente inactivaciones silentes y actuar en consecuencia de manera precoz previo a la siguiente administración.



SEHOP
SOCIEDAD ESPAÑOLA
DE HEMATOLOGÍA Y ONCOLOGÍA
PEDIÁTRICAS

1^{ER} CONGRESO IBÉRICO DE HEMATOLOGÍA Y ONCOLOGÍA PEDIÁTRICAS

virtual

21 Y 23 SEPT 2021
28 Y 30 SEPT

C0050 ANÁLISIS TOPOLÓGICO DE DATOS DE CITOMETRÍA DE FLUJO AL DIAGNÓSTICO DE LEUCEMIA LINFOBLÁSTICA AGUDA DE CÉLULAS B PARA PREDECIR LAS RECIDIVAS

Salvador Chulián García, Águeda Molinos Quintana (Hematología, Hospital Virgen del Rocío, Sevilla, España), Teresa Caballero Velázquez (Hematología, Hospital Virgen del Rocío / Universidad de Sevilla, Sevilla, España), Manuel Ramírez Orellana (Onco-hematología, Hospital Infantil Universitario Niño Jesús, Instituto Investigación Sanitaria La Princesa, Madrid, España), Ana Castillo Robleda (Onco-hematología, Hospital Infantil Universitario Niño Jesús, Instituto Investigación Sanitaria La Princesa, Madrid), José Luis Fuster Soler (Hematología, Hospital Virgen de la Arrixaca, Murcia, España), Alfredo Minguela Puras (Hematología, Hospital Virgen de la Arrixaca, Murcia, España), María Victoria Martínez Sánchez (Hematología, Hospital Virgen de la Arrixaca, Murcia, España)

1 Objetivos/ Metas

La detección temprana de las posibles recaídas en leucemia linfoblástica aguda (LLA) es de gran importancia clínica. Los datos altamente multidimensionales en oncología, como los de citometría de flujo, son apropiados para la aplicación de métodos matemáticos de análisis. Se presentan como objetivos:

- 1) La combinación de métodos topológicos de análisis de datos y de *machine learning* para identificar biomarcadores predictivos de recaída.
- 2) La identificación de pacientes al momento de diagnóstico con mayor riesgo de recaída.

2 Material y Métodos/ Material e métodos

Se incluyen datos de citometría de flujo al diagnóstico de 129 pacientes con LLA de células B entre febrero de 2009 y julio de 2019 de los Hospitales de Jerez de la Frontera (Cádiz), Virgen de la Arrixaca (Murcia), Niño Jesús (Madrid) y Virgen del Rocío (Sevilla). Tras el preprocesado de datos, se analizan 96 pacientes divididos en un conjunto de discovery (50) y otro de validación (46).

De la rama topológica, se utilizan técnicas de homología de persistencia, para la construcción de estructuras matemáticas capaces de obtener el número de componentes conexas (nubes de datos aisladas) y *loops* uni-dimensionales (agujeros) que permitan caracterizar la estructura de los datos de citometría de flujo. Esto permite la construcción de las denominadas imágenes de persistencia. Mediante técnicas de *Machine Learning* y análisis de *Big-Data*, como el Random Forest y Support Vector Machine, se clasifica en grupos a los pacientes basándose en estas características topológicas.

3 Resultados

- El análisis de Random forest confirman las moléculas CD10, CD20, CD38 y CD45 como parámetros con contenido de información topológica.
- Según estos últimos parámetros, los pacientes que recaen, en el momento de diagnóstico, tienen más componentes conexas y agujeros uni-dimensionales ($p < 0.05$ en los casos analizados).
- Se obtienen diferencias en las imágenes de persistencia entre ambas cohortes de pacientes.
- La categorización de pacientes mediante imágenes de persistencia permite una clasificación perfecta basándose en el análisis de los parámetros CD10, CD20, CD38 y CD45.

4 Conclusiones/ Conclusões

Los resultados obtenidos subrayan el potencial de los métodos topológicos a la hora de remarcar características topológicas de las recaídas en LLA de células B. Alternativamente a otros métodos, que utilizan la intensidad de fluorescencia en marcadores o la proporción de células, la topología es capaz, junto al *Machine Learning*, de obtener características de la forma de las nubes de puntos y la clasificación de pacientes de cara al pronóstico de recaída.



SEHOP
SOCIEDAD ESPAÑOLA
DE HEMATOLOGÍA Y ONCOLOGÍA
PEDIÁTRICAS

SOCIEDADE DE HEMATOLOGIA
E ONCOLOGIA PEDIATRICA
DA SOCIEDADE PORTUGUESA DE PEDIATRIA

1^{ER} CONGRESO IBÉRICO DE HEMATOLOGIA Y ONCOLOGIA PEDIATRICAS

virtual

21 Y 23 SEPT 2021
28 Y 30 SEPT

C0051 TRATAMIENTO CON CAR-T EN LLA-B PEDIÁTRICA: MODELIZACIÓN MATEMÁTICA.

Álvaro Martínez Rubio, Salvador Chulián García (Departamento de Matemáticas, Universidad de Cádiz, Puerto Real, España), Ana Niño López (Departamento de Matemáticas, Universidad de Cádiz, Puerto Real, España), Manuel Ramírez Orellana (Oncohematología, Hospital Infantil Universitario Niño Jesús Instituto Investigación Sanitaria La Princesa, Madrid, España), Antonio Pérez Martínez (Hemato-Oncología Pediátrica, Hospital Universitario La Paz, idIPAZ, Madrid, España), Víctor Manuel Pérez García (Departamento de Matemáticas, Mathematical Oncology Laboratory Universidad de Castilla-La Mancha, Ciudad Real, España), María Rosa Durán (Departamento de Matemáticas, Universidad de Cádiz, Puerto Real, España), Cristina Blázquez Goñi (Hematología, Hospital Virgen del Rocío, Sevilla, España)

1 Objetivos/ Metas

La falta de respuesta a la terapia con células CAR-T en pacientes con LLA-B en recaída apunta a una pérdida o disfunción del producto en médula ósea. Entender la interacción entre células CAR-T, células B y células leucémicas en dicho tejido es fundamental para aclarar las causas de la recaída. Los objetivos de este trabajo son:

- Proponer un modelo matemático que representa la interacción entre las poblaciones anteriormente mencionadas.
- Simular distintas modalidades terapéuticas y contrastar con lo observado en ensayos clínicos.
- Proponer hipótesis o explicaciones mecanicistas de los procesos asociados a la recaída.

2 Material y Métodos/ Material e métodos

El modelo matemático tiene en cuenta la renovación constante de las células B, la proliferación incontrolada de células leucémicas y las células CAR-T divididas en fenotipo efector y de memoria, según los datos sugeridos por los ensayos clínicos. Los principales procesos incluidos en el modelo son la eliminación de células CD19+ por el producto CAR, la transición de fenotipo efector a memoria y la reactivación de células de memoria con las sucesivas exposiciones al antígeno. El modelo consta de siete ecuaciones diferenciales ordinarias que se resuelven computacionalmente para simular escenarios terapéuticos.

3 Resultados

Las simulaciones del modelo proporcionan una descripción factible de la dinámica de los diversos componentes celulares de la médula ósea después de la infusión del producto CAR. Al explorar los parámetros del modelo, encontramos que la dinámica del producto y de la enfermedad es independiente de la dosis y de la cantidad de células B y leucémicas iniciales. Por último, mostramos la importancia de las características del producto a la hora de determinar el resultado de la terapia, y exploramos diversos escenarios de respuesta incluyendo segundas dosis y reinfusiones de células B.

4 Conclusiones/ Conclusões

El modelo matemático, con compartimentos de células CAR-T efectoras y de memoria, es capaz de reproducir la cinética del tratamiento CAR-T en LLA-B. Las predicciones del modelo coinciden con aspectos descritos en la literatura, como la importancia de las características del producto por encima de las características de la enfermedad a la hora de determinar el resultado de la terapia. Para poder explicar completamente la fenomenología clínica, una mejora del modelo debería incluir una descripción más detallada de las células T e incorporar mecanismos de senescencia.



SEHOP
SOCIEDAD ESPAÑOLA
DE HEMATOLOGÍA Y ONCOLOGÍA
PEDIÁTRICAS

1^{ER} CONGRESO IBÉRICO DE HEMATOLOGIA Y ONCOLOGIA PEDIATRICAS

virtual

21 Y 23 SEPT 2021
28 Y 30 SEPT

C0052 ANÁLISIS DE PARÁMETROS DE CALIDAD, ADHERENCIA Y SUPERVIVENCIA DE LOS PROTOCOLOS SEHOP-GEIS EN PACIENTES PEDIÁTRICOS CON SARCOMA DE EWING DE NUEVO DIAGNÓSTICO

Susana Buendía López, Alba Rubio San Simón (Oncología Pediátrica. Hospital Infantil Universitario Niño Jesús. Madrid), Natalia Camarena Pavón (Oncología Pediátrica. Hospital Infantil Universitario Niño Jesús. Madrid.), Sara Inmaculada Sirvent Cerdá (Radiodiagnóstico. Hospital Infantil Universitario Niño Jesús. Madrid), Daniel Azorín Cuadrillero (Anatomía Patológica. Hospital Infantil Universitario Niño Jesús. Madrid), Juan Carlos Abril Martín (Cirugía Ortopédica y Traumatología. Hospital Infantil Universitario Niño Jesús. Madrid), Carmen González San Segundo (Oncología Radioterápica. Hospital General Universitario Gregorio Marañón. Madrid), Francisco José Bautista Sirvent (Oncología Pediátrica. Hospital Infantil Universitario Niño Jesús. Madrid..)

1 Objetivos/ Metas

La quimioterapia, cirugía y radioterapia, son los pilares esenciales del tratamiento de los pacientes con Sarcoma de Ewing (SE). Su manejo es muy complejo, depende de múltiples especialistas y exige una estricta coordinación para adherirse a los plazos que exigen los protocolos contemporáneos. La experiencia de los profesionales redundan en una mejor calidad asistencial que maximice las posibilidades de curación.

2 Material y Métodos/ Material e métodos

Objetivo: Analizar parámetros de calidad/adherencia a protocolos SEHOP-GEIS de pacientes con SE tratados con el esquema VIDE/VAC-VAI/Trasplante (TPH si aplica) y su supervivencia en dos periodos.

Estudio unicéntrico, descriptivo, retrospectivo (2001-2018). Los pacientes se incluyeron si (i) tenían un SE de nuevo diagnóstico tratados con el esquema VIDE/VAC-VAI/TPH, (ii) se disponía de datos esenciales demográficos, terapéuticos y supervivencia. Se hicieron dos grupos: Grupo A (2001-2009), Grupo B (2010-2018). Se evaluaron los tiempos entre diferentes momentos del tratamiento: tiempo entre biopsia diagnóstica e inicio de quimioterapia, duración de inducción, tiempo hasta cirugía desde el final de quimioterapia de inducción y desde la cirugía hasta quimioterapia de consolidación, variables de calidad quirúrgica, y supervivencia libre de evento (SLE)/global (SG).

3 Resultados

72 pacientes cumplieron criterios de inclusión, 36 en cada grupo. No hubo diferencias estadísticamente significativas entre grupos en relación a variables clínicas. La mediana de seguimiento (años) fue 4,7 (0,1-14,8) en grupo A Vs 4 (1-9,9) en B. La mediana desde la biopsia hasta el inicio de la quimioterapia fue de 7,5 Vs 14,5 días, respectivamente ($p=ns$). Las medianas de tiempo de duración de la inducción (111 Vs 106 días; tiempo teórico 105 días), tiempo hasta la cirugía desde el fin de inducción (28 Vs 22 días; tiempo teórico 21 días) y tiempo hasta reanudar la quimioterapia (24 Vs 22 días; tiempo teórico 14-21 días) fueron más cortas en el segundo periodo ($p=ns$). En el segundo periodo hubo más pacientes (11 vs 15) con cirugía R0 ($p=0,3$). En el primer periodo hubo 6 muertes tóxicas, solo una en el segundo ($p=0,045$). La SLE (IC95%) a 3 años para los Grupos A-B fue respectivamente: 46,2% (29,3-61,4) Vs 72,3 % (60,1-89,3) ($p=0,3$) y la SG (IC95%) 58,5% (40,1-73,1) Vs 63,1 % (45-76,7) ($p=0,03$).

4 Conclusiones/ Conclusões

Varias de las métricas han mejorado con el tiempo y la experiencia, lo que puede haber contribuido a mejorar la supervivencia. Es importante evaluar ciertos aspectos cualitativos del tratamiento de pacientes con SE para mejorar nuestra atención.



SEHOP
SOCIEDAD ESPAÑOLA
DE HEMATOLOGÍA Y ONCOLOGÍA
PEDIÁTRICAS

1^{ER} CONGRESO IBÉRICO DE HEMATOLOGIA Y ONCOLOGIA PEDIATRICAS

virtual

21 Y 23 SEPT 2021
28 Y 30 SEPT

C0053 OBSTÁCULOS EN EL TRATAMIENTO EN PAÍSES CON RECURSOS LIMITADOS A PROPÓSITO DE UNA SERIE DE CASOS DE OSTEOSARCOMA TRATADOS EN GUATEMALA

Natalia Camarena Pavón, Thelma B Velásquez Herrera (Unidad Nacional de Oncología Pediátrica. Ciudad de Guatemala. Guatemala.), Glenda K Ponce Cabrera (Unidad Nacional de Oncología Pediátrica. Ciudad de Guatemala. Guatemala.), David T Arreaza Gonzáles (Unidad Nacional de Oncología Pediátrica. Ciudad de Guatemala. Guatemala.), Paola T Salguero Salguero (Unidad Nacional de Oncología Pediátrica. Ciudad de Guatemala. Guatemala.), Susana M Godoy Escobar (Unidad Nacional de Oncología Pediátrica. Ciudad de Guatemala. Guatemala.), Susana Buendía López (Servicio Onco-hematología. Hospital Infantil Universitario Niño Jesús. Madrid. España.), Maitane Andión Catalán (Servicio de Onco-Hematología, Hospital Infantil Universitario Niño Jesús. Madrid. España., Madrid, España)

1 Objetivos/ Metas

La supervivencia general del cáncer infantil es del 80%, lo que supone un éxito de la medicina moderna. Esta perspectiva alentadora está disponible sólo para el 16% de pacientes, por lo que reducir esta brecha es una prioridad humanitaria. El objetivo del estudio es ilustrar los obstáculos del diagnóstico y tratamiento de niños con cáncer en países de ingresos medios y bajos (PIMB).

2 Material y Métodos/ Material e métodos

Descripción retrospectiva de 5 pacientes con osteosarcoma tratados en la Unidad nacional de Oncología Pediátrica (UNOP) de Guatemala.

3 Resultados

La mediana de edad al diagnóstico fue de 10 años (rango: 7-16 años). En 4 casos el motivo de consulta fue dolor, asociando impotencia funcional y deformidad en 2 de ellos. Un caso consultó exclusivamente por incapacidad para deambular. La mediana de tiempo desde que inició la sintomatología hasta la primera consulta fue 90 días (rango: 10-122 días). Dos pacientes debutaron con enfermedad metastásica.

Cuatro pacientes rehusaron recibir tratamiento oncológico, 3 de ellos inicialmente y otro tras en primer ciclo de quimioterapia, argumentando rechazo a la amputación. Todos ellos reconsultaron por aumento del dolor y en 2 casos además por importante progresión de la tumoración. En la reconsulta, 3 pacientes presentaron metástasis de nueva aparición. La mediana de tiempo desde la primera consulta hasta la reconsulta fue 63.5 días (rango: 20-152 días) y desde el inicio de los síntomas hasta el inicio del tratamiento de 119.5 días (rango: 27-35 días).

Solo un paciente recibió quimioterapia inicial, tras la cual se produjo abandono terapéutico. En los demás casos se realizó desarticulación y quimioterapia adyuvante posterior.

Dos pacientes recibieron desarticulación paliativa, ambos habían rechazado recibir tratamiento. Uno de ellos recibió un ciclo de quimioterapia adyuvante con buena respuesta, por lo que se realizó metastasectomía y quimioterapia intensiva, actualmente en remisión. El cuarto paciente continúa con enfermedad estable tras un año de tratamiento con quimioterapia metronómica paliativa.

4 Conclusiones/ Conclusões

Numerosos obstáculos dificultan la detección temprana y tratamiento adecuado de las patologías oncológicas en PIMB. El diagnóstico tardío determina un estadio avanzado en el caso del osteosarcoma ensombreciendo el pronóstico. Las grandes masas tumorales al debut obligan a realizar cirugías mutilantes, lo que favorece el rechazo terapéutico, afecta a la calidad de vida y autoestima del paciente mayoritariamente adolescente. A pesar de las dificultades descritas, en los últimos años han surgido programas cooperativos que han logrado un progreso sustancial en un periodo relativamente corto, siendo Guatemala un ejemplo del éxito de estos programas.



SEHOP
SOCIEDAD ESPAÑOLA
DE HEMATOLOGÍA Y ONCOLOGÍA
PEDIÁTRICAS

SOCIEDADE DE HEMATOLOGIA
E ONCOLOGIA PEDIATRICA
DA SOCIEDADE PORTUGUESA DE PEDIATRIA

1^{ER} CONGRESO IBÉRICO DE HEMATOLOGIA Y ONCOLOGIA PEDIATRICAS

virtual

21 Y 23 SEPT 2021
28 Y 30 SEPT

C0055 AFECTACIÓN CARDIACA COMO MANIFESTACIÓN DE LEUCEMIA LINFOBLÁSTICA AGUDA

Natalia Camarena Pavón (Servicio Onco-Hematología. Hospital Infantil Universitario Niño Jesús. Madrid. España.), Susana Buendía López (Servicio Onco-Hematología. Hospital Infantil Universitario Niño Jesús. Madrid. España.), Blanca Molina Angulo (Servicio Onco-Hematología y Trasplante hematopoyético. Hospital Infantil Universitario Niño Jesús. Madrid. España.), Amalia Tamariz-Martel Moreno (Servicio Cardiología. Hospital Infantil Universitario Niño Jesús. Madrid. España.), Maitane Andión Catalán

1 Objetivos/ Metas

La afectación cardíaca es excepcional como manifestación de la leucemia aguda en los pacientes pediátricos. Puede presentarse clínicamente de manera muy heterogénea, siendo las manifestaciones más habituales el derrame pericárdico o la presencia de trombos de etiología tumoral. Se describen 3 casos de afectación cardíaca como manifestación de leucemia linfoblástica aguda diagnosticados en nuestro centro.

2 Material y Métodos/ Material e métodos

Se realiza una revisión retrospectiva de las historias clínicas de los pacientes con leucemia aguda que presentaron afectación cardíaca como manifestación de su enfermedad en el período comprendido entre Enero de 2009 y Enero de 2021 en nuestro centro.

Se describen las características demográficas, manifestaciones clínicas, tratamiento y evolución de los casos.

3 Resultados

Durante los últimos 12 años se diagnosticaron únicamente 3 casos de afectación cardíaca, dos de ellos en niños y uno en un adulto joven, todos ellos con LLA-T (dos casos) o early pre-T (un caso). Desde el punto de vista citogenético se detectó reordenamiento MLL y gen quimérico Si1-TAL por la delección 1p32, respectivamente, en los pacientes con LLA-T. Todos los casos fueron refractarios al tratamiento de inducción y recibieron un trasplante de progenitores hematopoyéticos alogénico. La mediana de tiempo desde el trasplante hasta el desarrollo de infiltración cardíaca fue de 4 meses (rango: 2-35 meses). La forma de presentación fue derrame pericárdico en todos los casos, y en dos de ellos se realizó pericardiocentesis evacuadora que confirmó el diagnóstico citológico. En uno de los casos se confirmó el diagnóstico histológico tras biopsia miocárdica. Únicamente uno de los pacientes alcanzó remisión posterior tras recibir inmunoterapia con infusión de células NK y quimioterapia de rescate con consolidación con trasplante alogénico. Los tres pacientes fallecieron por progresión de la enfermedad, en una mediana de 8 meses tras el diagnóstico de afectación cardíaca (rango: 2-11 meses).

4 Conclusiones/ Conclusões

El afectación cardíaca como manifestación de leucemia aguda es excepcional en la edad pediátrica. Habitualmente se presenta en forma de derrame pericárdico, insuficiencia cardíaca congestiva o pericarditis constrictiva, pero hay descritos casos esporádicos de bloqueo auriculo-ventricular por infiltración del haz de His y muerte súbita secundaria a eventos tromboticos tumorales. La infiltración miocárdica aislada es aún menos frecuente y se ha reportado de forma excepcional en la literatura. Tal y como muestran los casos presentados, el pronóstico de la afectación cardíaca es generalmente desfavorable, asociándose con frecuencia a otros factores de mal pronóstico como la hiperleucocitosis o inmunofenotipo T.



SEHOP
SOCIEDAD ESPAÑOLA
DE HEMATOLOGÍA Y ONCOLOGÍA
PEDIÁTRICAS

SOCIEDADE DE HEMATOLOGIA
E ONCOLOGIA PEDIATRICA
DA SOCIEDADE PORTUGUESA DE PEDIATRIA

1^{ER} CONGRESO IBÉRICO DE HEMATOLOGIA Y ONCOLOGIA PEDIATRICAS

virtual

21 Y 23 SEPT 2021
28 Y 30 SEPT

C0057 TOXICIDAD AUDITIVA TARDÍA TRAS TRATAMIENTO DE OSTEOSARCOMA CON CISPLATINO EN EDAD PEDIÁTRICA, ¿UNA TOXICIDAD OLVIDADA?

Margarita Lorente Aporta, Catalina Márquez Vega (Hospital Universitario Virgen del Rocío, Sevilla, España), Jose Ignacio Gutiérrez Carrasco (Hospital Universitario Virgen del Rocío, Sevilla, España), Eduardo Quiroga Cantero (Hospital Universitario Virgen del Rocío, Sevilla, España), Gema Lucía Ramírez Villar (Hospital Universitario Virgen del Rocío, Sevilla, España), Ana Chavez Barco (Hospital Universitario Virgen del Rocío, Sevilla, España)

1 Objetivos/ Metas

Entre los tumores óseos primarios el osteosarcoma es el más frecuente, presentando una distribución bimodal, con un pico de incidencia máximo en adolescentes. La adición a la cirugía de un esquema de poliquimioterapia basado en cisplatino consiguió una relevante mejora en la supervivencia. En pacientes jóvenes, con posibilidad de convertirse en supervivientes a largo plazo, es esencial vigilar la aparición de toxicidades tardías derivadas del tratamiento oncológico. En este estudio, el objetivo primario fue la determinación de ototoxicidad tardía derivada del uso de cisplatino, así como su relación con la dosis recibida.

2 Material y Métodos/ Material e métodos

Estudio observacional basado en una cohorte retrospectiva consistente en la revisión de 21 casos con diagnóstico de osteosarcoma que recibieron cisplatino en esquema de quimioterapia. Se revisó la presencia de alteraciones audiológicas, acúfenos y alteraciones del equilibrio al inicio, durante, al finalizar el tratamiento, y en la última revisión disponible. Adicionalmente se incluyó una valoración subjetiva mediante encuesta telefónica. Con estos datos se creó una base de datos para posterior análisis descriptivo mediante SPSS 25.0.

3 Resultados

La edad media al diagnóstico fue 12.19 años con distribución homogénea por sexos. El 23.8% fue estadio metastásico al diagnóstico. Para el tratamiento sistémico, todos recibieron esquema basado en MAP complementario a cirugía, que pudo ser conservadora de miembros en el 81%. La dosis media acumulada de cisplatino fue de 447.43 mg/m² (120-600 mg/m²), alcanzándose en la curva Kaplan Meier una supervivencia global del 80%. Durante el tratamiento un 57.1% presentó audiometría alterada y 14.3% tinnitus. A los 12-48 meses posteriores a finalizar el tratamiento, un 19% y 47.9% mostraron audiometría alterada según escala BROCK y SIOP respectivamente, mientras que en la valoración subjetiva, la afectación auditiva fue del 60% de los encuestados junto a un 23.8% de tinnitus. No se encontraron alteraciones en el equilibrio. La asociación ototoxicidad y dosis administrada no fue estadísticamente significativa ($p > 0.05$) según Test Exacto de Fisher.

4 Conclusiones/ Conclusões

En la cohorte analizada, la supervivencia tras tratamiento con cirugía y esquema de poliquimioterapia con cisplatino fue del 80%. Comparando la afectación audiológica, se encontraron diferencias en la magnitud de afectación mediante audiometría según distintas escalas, así como mediante valoración subjetiva. Esto justificaría la necesidad de revisión de protocolos de seguimiento y unificación de los mismos. Sería importante además la identificación de factores individuales que aumenten el riesgo de ototoxicidad tardía, para una monitorización más estrecha, con objeto de disminuir secuelas en pacientes que han sido politratados, especialmente a edades jóvenes.



SEHOP
SOCIEDAD ESPAÑOLA
DE HEMATOLOGÍA Y ONCOLOGÍA
PEDIÁTRICAS

SOCIEDADE DE HEMATOLOGIA
E ONCOLOGIA PEDIATRICA
DA SOCIEDADE PORTUGUESA DE PEDIATRIA

1^{ER} CONGRESO IBÉRICO DE HEMATOLOGIA Y ONCOLOGIA PEDIATRICAS

virtual

21 Y 23 SEPT 2021
28 Y 30 SEPT

C0058 OSTEOSARCOMA EN EDAD PEDIÁTRICA: EFECTOS SECUNDARIOS Y CALIDAD DE VIDA

Margarita Lorente Aporta, Jose Ignacio Gutiérrez Carrasco (Oncología Pediátrica, Hospital Universitario Virgen del Rocío, Sevilla, España), Catalina Márquez Vega (Oncología Pediátrica, Hospital Universitario Virgen del Rocío, Sevilla, España), Mercedes Llempen López (Oncología Pediátrica, Hospital Universitario Virgen del Rocío, Sevilla, España), Eduardo Quiroga Cantero (Oncología Pediátrica, Hospital Universitario Virgen del Rocío, Sevilla, España)

1 Objetivos/ Metas

El osteosarcoma es tumor óseo primario más frecuente que, con una distribución bimodal, alcanza el 17% de las neoplasias en adolescentes a partir de los 10 años. Debido a la combinación de tratamientos sistémicos complementarios a la cirugía, la supervivencia pasó del 50% al 80% entre 1970-2008. Esta mejora pronóstica trajo consigo mayor número de jóvenes supervivientes, acompañado en ocasiones de la aparición de secuelas relacionadas con el tratamiento recibido.

2 Material y Métodos/ Material e métodos

Estudio observacional basado en una cohorte retrospectiva de 21 casos con diagnóstico de osteosarcoma. Para el tratamiento se empleó un esquema poliquimioterápico neoadyuvante previa a cirugía, en el que se evaluaba el porcentaje de respuesta histológica, seguida de terapia adyuvante. En estos pacientes se evaluó la afectación en distintos órganos y aparatos a la que se añadió valoración subjetiva mediante encuesta telefónica, creando una base de datos para posterior análisis descriptivo. El objetivo fue evaluar las consecuencias del tratamiento, así como calidad de vida.

3 Resultados

La cohorte de pacientes fue similar por sexos, con edad media al diagnóstico de 12.2 años. La localización del primario más frecuente fue fémur (57.1%) seguido de tibia (28.6%), con 23.8% metastásicos respecto al total. Se realizaron 17 cirugías conservadoras de miembro, objetivándose una media de 81.1% de necrosis. La media de duración del tratamiento fue de 45 semanas, obteniéndose una supervivencia global del 80% (media: 72 meses). Los fármacos y dosis medias recibidas fueron: cisplatino (447.43 mg/m²), adriamicina (413.33 mg/m²), metotrexate (97.24 g/m²), ifosfamida (62.02 g/m²) y mifamurtide (96 g/m²). Se encontró afectación ortopédica del 100% (limitación funcional, dismetría, escoliosis, reintervención, miembro fantasma e hipoestesia), psicológica (47.6%), pulmonar (38.1%), esfera ORL (33.3%), hematológica (19%), digestiva, cardiaca y nefrológica (14.3% cada una de ellas) y endocrina (9.5%). Adicionalmente a través de la encuesta telefónica se preguntó a 15 pacientes acerca de su situación y calidad de vida actual, refiriendo ser respectivamente muy buena(8), buena(3), regular(3) y mala(1). El 93.3% afirmó prestar mucha atención a la aparición de nuevos síntomas.

4 Conclusiones/ Conclusões

Las secuelas ortopédicas derivadas de la cirugía del tumor primario fueron las más frecuentemente encontradas, seguido de las psicológicas. Por este motivo, y debido a la importancia otorgada a la aparición de secuelas a otros niveles es necesario unificar esfuerzos para disminuir e identificar de forma precoz aquellas derivadas del tratamiento sistémico. Esto es especialmente importante en largos supervivientes por su posible impacto en calidad de vida. Sería necesario garantizar además apoyo psicológico a estos pacientes.

C0063 DISEÑO Y VALIDACIÓN DE UN PANEL DE SECUENCIACIÓN MASIVA PARA LA CARACTERIZACIÓN MOLECULAR DE LA LEUCEMIA LINFOBLÁSTICA AGUDA Y EL SARCOMA PEDIÁTRICOS

Marta Llop García*, José Vicente Gil Orti* (Instituto de Investigación Sanitaria la Fe. Valencia, España), Olaya Jiménez López (Instituto de Investigación Sanitaria la Fe. Valencia, España), Esperanza Such Taboada (Unidad de diagnóstico Hematológico. Servicio de Hematología. Hospital Universitario y Politécnico la Fe. Valencia, España), Carolina Fuentes Socorro (Unidad de onco-hematología pediátrica. Servicio de Pediatría. Hospital Universitario y Politécnico la Fe. Valencia, España), Antonio Juan Ribelles (Unidad de onco-hematología pediátrica. Servicio de Pediatría. Hospital Universitario y Politécnico la Fe. Valencia, España), Sarai Palanca Suela# (Unidad de Biología Molecular, Servicio de Análisis Clínicos. Hospital Universitario y Politécnico la Fe. Valencia, España), Eva Barragán González# (Unidad de Biología Molecular, Servicio de Análisis Clínicos. Hospital Universitario y Politécnico la Fe. Valencia, España (* co-autores; #co-autoras senior))

1 Objetivos/ Metas

La leucemia linfoblástica aguda (LLA) y los sarcomas representan el 25-45% del cáncer pediátrico. Su caracterización molecular es importante para establecer el diagnóstico, clasificar del riesgo y/o utilizar tratamientos dirigidos. Nuestro objetivo es el diseño y validación de un panel de secuenciación masiva (NGS) dirigido a estos tumores pediátricos.

2 Material y Métodos/ Material e métodos

El diseño del panel se muestra en la Tabla 1. Para validarlo se secuenciaron 25 muestras de LLA y 11 de sarcoma previamente caracterizadas mediante NGS (OncoPrint Childhood Research Assay), MLPA (P355-ALL-IKZF1), técnicas citogenéticas y/o qRT-PCR. También se estudió el límite de detección (LoD) y reproducibilidad.

Tabla 1. Diseño del panel

HotSpots (n=22), LLA

CREBBP, CRLF2, DNMT3A, EP300, EZH2, FBXW7, FLT3, IDH1/2, IL7R, JAK1/2/3, NOTCH1, PAX5, PIK3CA, PTPN11, K/NRAS, SETD2, STAT5B y *SH2B3*

Secuencia codificante completa (n=21), LLA

AKT, CDKN2A/B, DNM2, EED, ETV6, GATA3, IKZF1, KDM6A, LEF1, NF1, NT5C, PHF6, PTEN, PTPN2, RUNX1, STAG2, SUZ12, TET2, TP53 y *WT1*

Variación en el número de copias (CNV) (n=9), LLA

EBF1, IKZF1, JAK2, CDKN2A/B, PAX5, ETV6, BGT1 y *RB1*.

Fusiones (n=1080), LLA y sarcoma

Drivers: *ABL1/2, KMT2A, TCF3, ETV6, EPOR, CSF1R, FLT3, JAK2, PDGFRA/B, LYN, NTRK1/2/3, TYK2, FGFR1, IL2RB, TSLP, PAX5, DUX4, NOTCH1, MEF2D, ZNF384, MYB/L1, P2RY8-CRLF2, SET-NUP214, PICALM-MLLT10* y *STIL-TAL* (LLA); *AKT1, FUS, NTRK1/2/3, TCF12, CAMTA1, PDGFRB, CCNB3, HMGA2, PLA1, TFG, CIC, JAZF1, ROS1, USP6, SS18, YWHAE, EWSR1, MKL2, STAT6, FOXO1* y *NCOA2* (Sarcoma).

Expresión (n=6), LLA

NKX2, TAL1, TLX1, LMO2, TLX3 y *CRLF2*

3 Resultados

La uniformidad y las lecturas *on-target* fueron >95% y la profundidad de lectura promedio >1900X. Únicamente 32/1.138 amplicones (2,8%) mostraron baja profundidad de lectura (<100x) y/o *strand bias* (>3X). El LoD fue del 2% y la reproducibilidad inter e intraensayo del 100%.

La secuenciación de ADN detectó 38 mutaciones en las 25 LLAs (1,52 mutaciones/paciente), siendo *NOTCH1*, *TP53* y *N/KRAS* los genes principalmente alterados. El 60% de los pacientes (15/25) mostraron deleciones en homo o heterocigosis en al menos un gen, siendo *CDKN2A/B*, *ETV6* y *PAX5* los más frecuentemente delecionados.

El estudio de RNA identificó fusiones en 18/25 (72%) de las LLAs (*ARID1B-ZNF384*, *BCR-ABL1*, *EBF1-PDGFRB*, *ETV6-RUNX1*, *KMT2A-AFF1*, *KMT2A-CASC5*, *P2RY8-CRLF2*, *PICALM-MLLT10*, *STIL-TAL1*,



SEHOP
SOCIEDAD ESPAÑOLA
DE HEMATOLOGÍA Y ONCOLOGÍA
PEDIÁTRICAS

1^{ER} CONGRESO IBÉRICO DE HEMATOLOGÍA Y ONCOLOGÍA PEDIÁTRICAS

virtual

21 Y 23 SEPT 2021
28 Y 30 SEPT

TCF3-ZNF384, TCF3-PBX1 y TERF2-JAK2) y en 4/11 (36,4%) de los sarcomas (*EWSR1-ERG/FLI/WT1* y *PAX7-FOXO1*). Cuatro de los sarcomas mostraron resultados no valorables (36,4%). La cuantificación de la expresión mediante NGS se correlacionó con la qRT-PCR con una R^2 promedio de 0,75.

La sensibilidad y especificidad diagnóstica para mutaciones, *indels* y fusiones fue del 100% y, para VNC fue del 88,87% y 97,92%, respectivamente.

Este panel permitió identificar un marcador molecular útil para el pronóstico, la estratificación del riesgo y/o el tratamiento en un 75% más de los pacientes que con las técnicas convencionales actualmente aplicadas en la rutina asistencial.

4 Conclusiones/ Conclusões

El panel diseñado permite la caracterización molecular de la LLA y los sarcomas pediátricos con una precisión del 100% para mutaciones puntuales, *indels* y fusiones; y del 95,23% para la detección de VNC, por lo que su aplicación puede resultar útil en el contexto clínico.



SEHOP
SOCIEDAD ESPAÑOLA
DE HEMATOLOGÍA Y ONCOLOGÍA
PEDIÁTRICAS

1^{ER} CONGRESO IBÉRICO DE HEMATOLOGIA Y ONCOLOGIA PEDIATRICAS *virtual* 21 Y 23 SEPT 2021 28 Y 30 SEPT

C0064 SECUELAS NEUROCOGNITIVAS EN NIÑOS CON LEUCEMIA LINFOBLÁSTICA AGUDA

Dr. Antonio Molinés Honrubia, Montserrat Fonoll Alonso (Complejo Hospitalario Universitario Infantil Materno Infantil de Las Palmas de Gran Canaria), Sergio Hernández Expósito (Dpto. Psicología Clínica, Psicobiología y Metodología Facultad de Psicología y Logopedia Universidad de La Laguna 38204 La Laguna Tenerife España, La Laguna, España)

1 Objetivos/ Metas

Introducción: De forma paralela al incremento de los índices de supervivencia en niños diagnosticados de Leucemia Linfoblástica Aguda (LLA) se objetivan aumentos en los niveles de morbilidad que interfieren en la calidad de vida de estos pacientes, siendo las secuelas neurocognitivas una afectación con múltiples consecuencias.

Objetivo: Estudiar las secuelas neurocognitivas de niños con LLA tratados en el Servicio de Hematología Pediátrica del Complejo Hospitalario Universitario Insular Materno Infantil de Las Palmas de Gran Canaria.

2 Material y Métodos/ Material e métodos

Material y Método: Estudio prospectivo que analiza el perfil neurocognitivo post-tratamiento de 19 pacientes (11 niños, 9 niñas; $M_{edad}=11,5$ años) con diagnóstico de LLA. El protocolo de evaluación neuropsicológica utilizado estudió: Atención, Funciones Ejecutivas, Lenguaje, Percepción Social, Memoria y Aprendizaje, Procesamiento Visoespacial, Habilidades Visomotoras incluidas en la batería NEPSY-II (Korkman, Kirk y Kemp, 2014).

3 Resultados

Resultados: El 100% de los pacientes evidenció déficits cognitivos en al menos una función. Articulados por funciones, obtuvimos que: el 47,4% presentó déficits en atención; el 73,7% en funciones ejecutivas; el 68,4% en lenguaje; el 5,26% en percepción social; el 84,2% en memoria y aprendizaje; el 57,9% en procesamiento visoespacial y el 94,7% en habilidades visomotoras.

4 Conclusiones/ Conclusões

Conclusiones: Hemos evidenciado que las secuelas neurocognitivas están presentes en el 100% de niños con LLA, haciéndose más notables con el paso del tiempo. La presencia de alteraciones en las funciones cognitivas produce una repercusión negativa en diferentes áreas de su vida cotidiana. Teniendo en cuenta que estos niños están en edad escolar, se hace necesario llevar a cabo de forma sistemática evaluaciones neuropsicológicas antes, durante y después de la administración del tratamiento quimioterápico. Esto nos situaría en una situación ventajosa para implementar programas de intervención válidos y eficaces.



SEHOP
SOCIEDAD ESPAÑOLA
DE HEMATOLOGÍA Y ONCOLOGÍA
PEDIÁTRICAS

SOCIEDADE DE HEMATOLOGIA
E ONCOLOGIA PEDIATRICA
DA SOCIEDADE PORTUGUESA DE PEDIATRIA

1^{ER} CONGRESO IBÉRICO DE HEMATOLOGIA Y ONCOLOGIA PEDIATRICAS

virtual

21 Y 23 SEPT 2021
28 Y 30 SEPT

C0066 EXPERIENCIA EN EL TRATAMIENTO CON TRAMETINIB EN PACIENTES PEDIATRICOS AFECTOS DE GLIOMA DE BAJO GRADO Y TRASLOCACION DE BRAF EN PROGRESION.

ALBA FERNANDEZ GOMEZ (Facultativo Especialista Servicio de Oncología y Hematología Pediátricas. Hospital Universitario Vall d'Hebron. Barcelona, España.), Anna Llor Sales (Facultativo Especialista Servicio de Oncología y Hematología Pediátricas. Hospital Universitario Vall d'Hebron. Barcelona, España.), Soledad Gallego Melcón (Facultativo Especialista Servicio de Oncología y Hematología Pediátricas. Hospital Universitario Vall d'Hebron. Barcelona, España.), María Oliveras Arenas (Servicio de Farmacia. Hospital Universitario Vall d'Hebron. Barcelona, España.), Berta Renedo Miró (Servicio de Farmacia. Hospital Universitario Vall d'Hebron. Barcelona, España.), Ángel Sánchez-Montañez García Carpintero (Servicio de Radiología. Neurorradiología. Hospital Universitario Vall d'Hebron. Barcelona, España.), Ignacio Delgado Álvarez (Servicio de Radiología. Neurorradiología. Hospital Universitario Vall d'Hebron. Barcelona, España.), Lucas Moreno Martín- Retortillo

1 Objetivos/ Metas

Los gliomas de bajo grado (LGG) son los tumores más frecuentes en el sistema nervioso central en pediatría. La mayoría presentan activación oncogénica de la vía RAS/RAF/MEK/Activated Protein Kinases (MAPK), siendo la más frecuente la fusión *KIAA1549: BRAF*. La quimioterapia es el tratamiento de primera línea en LGG. Sin embargo, su perfil molecular hace que la inhibición de la vía MAPK mediante inhibidores de MEK (MEKi) abra un nuevo escenario terapéutico. Trametinib es un MEKi utilizado off-label en el tratamiento de LGG especialmente en situación de progresión.

2 Material y Métodos/ Material e métodos

Estudio retrospectivo observacional en pacientes afectados de LGG que reciben tratamiento con Trametinib entre mayo de 2018 y junio 2021 en un centro de tercer nivel. Se realiza recogida de datos demográficos, radiológicos y clínicos de historia clínica electrónica. Se evaluó la eficacia mediante la respuesta radiológica tumoral en los pacientes en que se ha realizado evaluación y la toxicidad mediante la revisión de historia clínica.

3 Resultados

Se incluyeron 16 pacientes, 14 con astrocitoma pilocítico y 2 con astrocitoma pilomixoide. EL 50% masculinos y 50% femeninos, edad media al diagnóstico 5 años. El 87,5% fueron casos esporádicos y 12,5% en Neurofibromatosis tipo 1.

El 94% habían recibido quimioterapia previa (1 a 3 líneas). Todos recibieron trametinib tras presentar progresión radiológica tumoral, con una media desde fin de último tratamiento a progresión de 29 meses (0 a 76 meses). En 11 pacientes se ha evaluado la respuesta al tratamiento: todos presentaron enfermedad estable según criterios RANO.

El 100% de los pacientes presentó efectos secundarios, el 44% grado III/IV (CTCAE 5). El 87,5% toxicidad cutánea, el 37,5% toxicidad gastrointestinal y el 44% hiperCKemia. Precisaron suspensión transitoria del tratamiento 7 pacientes (media 28 días) y se reintrodujo a dosis reducida (al 50% en 5 casos y al 33% en 2 casos).

La media de tratamiento fue 9 meses (2 a 24), actualmente 14 pacientes continúan con tratamiento, en dos se ha suspendido por toxicidad. En un paciente se suspendió a los dos años de tratamiento, pero se reinició a los 3 meses de la suspensión por progresión.

4 Conclusiones/ Conclusões

- Trametinib ha sido eficaz en detener la progresión de LGG, con estabilidad de la enfermedad como respuesta más frecuente.
- Todos los pacientes presentaron efectos adversos, principalmente toxicidad cutánea, gastrointestinal e hiperCKemia. No es infrecuente la reducción de dosis.
- Trametinib ha sido una alternativa al tratamiento en nuestros pacientes en progresión tras tratamiento quimioterápico.



SEHOP
SOCIEDAD ESPAÑOLA
DE HEMATOLOGÍA Y ONCOLOGÍA
PEDIÁTRICAS

1^{ER} CONGRESO IBÉRICO DE HEMATOLOGIA Y ONCOLOGIA PEDIATRICAS

virtual

21 Y 23 SEPT 2021
28 Y 30 SEPT

C0067 UTILIDAD LA DE LA CARACTERIZACIÓN MOLECULAR AVANZADA EN LA LEUCEMIA AGUDA PEDIÁTRICA

Víctor Galán-Gómez, Nerea Matamala-Zamarro (Instituto de Genética Médica y Molecular (INGEMM), Hospital Universitario La Paz), Beatriz Ruz-Caracuel (Instituto de Genética Médica y Molecular (INGEMM), Hospital Universitario La Paz), Pilar Guerra-García (Unidad Central de Investigación Clínica y Ensayos Clínicos (UCICEC), Hospital Universitario La Paz.), Bárbara Ochoa-Fernández (Servicio de Hemato-Oncología Pediátrica, Hospital Infantil Universitario La Paz.), Paula Valle-Simón (Unidad Central de Investigación Clínica y Ensayos Clínicos (UCICEC), Hospital Universitario La Paz.), Antonio Pérez-Martínez (Servicio de Hemato-Oncología Pediátrica, Hospital Infantil Universitario La Paz.), Adela Escudero-López (Instituto de Genética Médica y Molecular (INGEMM), Hospital Universitario La Paz)

1 Objetivos/ Metas

Las leucemias agudas (LA) refractarias o en recaída (r/r) constituyen entre el 10 y el 40% del total de leucemias pediátricas y suponen la principal causa de fracaso terapéutico. Esto no solamente supone un reto terapéutico, sino que refleja la necesidad de una mejor selección de pacientes de alto riesgo. El objetivo de este estudio es la caracterización molecular avanzada de estas enfermedades, con el fin de mejorar el diagnóstico, pronóstico, y el tratamiento.

2 Material y Métodos/ Material e métodos

Se recogieron datos clínicos y biológicos de 26 pacientes diagnosticados de LA r/r y se completó el estudio genético convencional. Se realizó NGS empleando un panel de genes dirigido, MLPA y RT-qPCR.

3 Resultados

La mediana de edad fue de 7.31 años (rango 0.54-16.92). La enfermedad principal fue la LA linfoblástica B (n = 18, 69.23%), seguida de la LA linfoblástica T (n = 4, 15.4%), la LA mieloblástica (n = 3, 11.54%) y LA de fenotipo mixto (n = 1, 3.85%). Un total de 23 (88.46%) pacientes sufrieron recaída frente a 3 (11.54%) que presentaron refractariedad. La mediana en meses desde el diagnóstico hasta la recaída/refractariedad fue 16.67 (rango 3,43-111,07) con un seguimiento de 45.73 meses (rango 6,13-147,20). Fallecieron un total de 10 pacientes (38,5%). Se encontró sobreexpresión de CRLF2 determinado por RT-qPCR en 4 (15.38%) pacientes. El estudio de CNVs mediante MLPA demostró deleciones en CDKN2A en 8 pacientes (30.77%), CDKN2B en 6 (23.08%), IKZF1 en 4 (15.38%) y PAX5 en 4 (15.38%). Tras la realización del estudio mediante técnicas de secuenciación masiva (NGS) a través de un panel customizado en el que se analizan 84 genes relacionados con leucemia y sensibilidad a fármacos, se identificaron 32 variantes clasificadas como oncogénicas o probablemente oncogénicas en un total de 16 pacientes (61.54%). De todas las alteraciones identificadas por las distintas técnicas, 24 (41.38%) se asociaron a un tratamiento dirigido. Además, se identificaron mediante NGS mutaciones en la vía MAPK relacionadas con enfermedades agresivas de mal pronóstico (6 variantes, 18.75 %). De ellas, 2 (33.33%) pertenecían a pacientes clasificados en riesgo estándar al diagnóstico. De los 17 pacientes (65.38%) en los que encontramos mutaciones sensibles a fármaco, 7 (41.17%) recibieron terapia dirigida, logrando el control de la enfermedad en 5 casos (71.43%).

4 Conclusiones/ Conclusões

Las nuevas técnicas de caracterización molecular, especialmente la secuenciación masiva, son esenciales para lograr una mejor clasificación y estratificación de los pacientes, permitiendo la seleccionar los de alto riesgo y el empleo de terapias dirigidas.

C0070 LINFOHISTIOCITOSIS HEMOFAGOCITICA (HLH) INDUCIDA POR ANTIBIÓTICOS: PROPUESTA PARA UN REGISTRO NACIONAL PARA CARACTERIZAR MEJOR DICHA ENTIDAD.

David Díaz Pérez, Lidia Ciudad Aguilar (Servicio de pediatría, Hospital Universitario Son Espases Palma, Islas Baleares), Laura Nofuentes Prieto (Servicio de pediatría, Hospital Universitario Son Espases Palma, Islas Baleares), Fernando Rafael Aguirregomezorta (Servicio de pediatría, Hospital Universitario Son Espases Palma, Islas Baleares), Laia Ferres Ramis (Unidad de Oncología-Hematología pediátrica, Hospital Universitario Son Espases Palma, Islas Baleares), Jose Antonio Salinas Sanz (Unidad de Oncología-Hematología pediátrica, Hospital Universitario Son Espases Palma, Islas Baleares), Jan Ramakers (Jan Ramakers Unidad de Inmunología pediátrica, Hospital Universitario Son Espases Palma, Islas Baleares)

1 Objetivos/ Metas

Recientemente describimos una serie de 5 casos de HLH secundario a antibióticos (SEHOP 2019, C0214). El conocimiento sobre la capacidad de ciertos medicamentos incluyendo antibióticos de causar un HLH secundario es escaso.

Objetivo: Estudiar nuestra hipótesis sobre que un HLH secundario puede ser provocado por activación inmunológica inducida por antibióticos creando un registro nacional.

El objetivo principal es identificar pacientes que cumplan los criterios de diagnóstico para HLH con exposición previa a antibióticos, mejoría clínica después de la retirada del posible antibiótico causante y ninguna otra causa secundaria definida. Describir las características clínicas y de laboratorio de los pacientes identificados. El segundo objetivo es crear una cohorte de pacientes con HLH secundaria inducida por antibióticos en España que pueda usarse para definir criterios diagnósticos preliminares.

2 Material y Métodos/ Material e métodos

Establecer un registro prospectivo multicéntrico a nivel nacional a través de la plataforma online REDCap durante un periodo mínimo de 24 meses para pacientes que cumplan los criterios de inclusión/exclusión:

Criterios inclusión:

- HLH según los criterios clásicos (Henter 2007) o modificados (Filipovich 2009)

O

- Diagnóstico de síndrome de hipersensibilidad inducido por fármacos (DIHS) según criterios de RegiSCAR (Kardaun 2007)

Y

- exposición a antibióticos ev durante mas de 7 días antes de presentar sintomatología

Y

- y suspensión o cambio de régimen antibiótico y remisión de la fiebre en los 7 días siguientes con o sin tratamiento específico para HLH

Criterios de exclusión: mutaciones conocidas para HLH primario, HLH secundario por enfermedades reumáticas, Kawasaki, malignidad, infección por VEB, VIH, mycobacterium, Plasmodium, Leishmania.

El diagnóstico clínico se verificara de forma independiente por tres pediatras del hospital promotor y los pacientes serán clasificados por su diagnóstico en los siguientes grupos A) HLH, B) DIHS y HLH, C) DIHS, D) ninguno. Los grupos son mutuamente excluyentes.

Posteriormente, se determinará la relación causal entre el diagnóstico previo y la exposición a antibióticos utilizando el algoritmo del sistema de farmacovigilancia español.

Se determinará como HLH inducido por fármacos aquellos pacientes de los grupos A o B con causalidad de exposición previa a antibióticos como "probable" o "definitivo"

La financiación del trabajo se llevara a cabo gracias a una beca de investigación recibida en la reunión anual de la Sociedad Española de Reumatología Pediátrica celebrada en 2019.

4 Conclusiones/ Conclusões

Basado en nuestra experiencia y la revisión de la literatura proponemos un protocolo para estudiar pacientes con HLH y exposición prolongada a antibióticos.



SEHOP
SOCIEDAD ESPAÑOLA
DE HEMATOLOGÍA Y ONCOLOGÍA
PEDIÁTRICAS

1^{ER} CONGRESO IBÉRICO DE HEMATOLOGIA Y ONCOLOGIA PEDIATRICAS

virtual

21 Y 23 SEPT 2021
28 Y 30 SEPT

C0072 EXPERIENCIA DE UNA UNIDAD MULTIDISCIPLINAR INMUNOHEMATO-ONCOLOGICA PEDIÁTRICA EN UN HOSPITAL TERCIARIO. DESCRIPCIÓN DE LOS CUATRO PRIMEROS AÑOS DE RECORRIDO

Cristina Mata Fernández, Alicia Domínguez Estirado (Unidad de Inmunodeficiencias Primarias, Servicio Inmuno-Alergia infantil.. Hospital Universitario Gregorio Marañón, Madrid. España), Gonzalo Solís García (Servicio de Neonatología. Hospital Materno-Infantil Gregorio Marañón. Madrid. España.), Jorge Huerta Aragonés (Sección Oncohematología Infantil y del Adolescente. Servicio de Pediatría. Hospital Gregorio Marañón, Madrid, España), Carmen Garrido Colino (Sección Oncohematología Infantil y del Adolescente.. Servicio de Pediatría. Hospital Gregorio Marañón, Madrid España), Elena Cela de Julián (Sección Oncohematología Infantil y del Adolescente. Servicio de Pediatría. Hospital Gregorio Marañón, Madrid, España), Elena Seoane Reula (Unidad de Inmunodeficiencias Primarias, Servicio Inmuno-Alergia infantil.. Hospital Universitario Gregorio Marañón Madrid. España)

1 Objetivos/ Metas

Los errores innatos de la inmunidad representan un grupo heterogéneo de enfermedades que se manifiestan tanto por infecciones como por manifestaciones de la disregulación inmune como son la autoinmunidad, inflamación, linfoproliferación y mayor incidencia de enfermedades malignas. Por otro lado, las enfermedades oncohematológicas conllevan déficits inmunes transitorios o crónicos. Ambas situaciones hacen preciso un abordaje paralelo por inmunólogos y oncohematólogos pediátricos. Las unidades multidisciplinarias han demostrado su beneficio en muchas áreas, pero hasta la fecha no se conoce su aplicación a esta área pediátrica. Describimos el recorrido de nuestra unidad en sus primeros 4 años.

2 Material y Métodos/ Material e métodos

Estudio observacional retrospectivo de un hospital terciario que incluye todos los pacientes menores de 18 años evaluados en la unidad multidisciplinaria inmuno-oncohematológica desde abril de 2016 hasta diciembre de 2019. La consulta tiene una periodicidad semanal y sesiones trimestrales y a demanda. Se han recogido datos epidemiológicos, clínicos y de laboratorio.

Se realizó análisis de varianza sobre las categorías de diagnósticos antes de su valoración multidisciplinaria y el número de visitas a la consulta. El análisis estadístico se realizó utilizando XLSTAT versión 2021.

3 Resultados

Se evaluaron 93 pacientes, 50 niñas (53,7%). La edad media al inicio era de 10,25 años y el tiempo medio de seguimiento de 2,13 años. La media de revisiones de 8 (IQR 4-20)

Motivo más frecuente de consulta: alteraciones analíticas 87,2%: leucopenia/neutropenia (54,8%). Otros: Infecciones recurrentes (11,8%) y sospecha/diagnóstico de síndrome complejo (10,75%).

A todos los pacientes se les realiza: hemograma, bioquímica y cuantificación de inmunoglobulinas. Estudio del complemento (88%), poblaciones linfocitarias (54,8%) y anticuerpos antineutrófilo (23,6%). El aspirado-biopsia de médula ósea se realizó a 32 pacientes (30,8%). Estudio genético 54(51,9%): secuenciación masiva (48,3%) y sanger (51,7%)

No se objetivaron diferencias en el número de visitas entre sexos ni edades, pero sí mayor número en pacientes con enfermedades hematooncológicas previas (no significativo). 26 (27,9%) precisaron ingreso durante su seguimiento. Durante los 4 años en esta Unidad se llegó al diagnóstico definitivo de 54 niños (58,1%). Permitiendo que 39 (37,5%) recibieran tratamiento específico. Al final del estudio el 25,8% habían sido dados de alta y el 56% continuaban seguimiento.

4 Conclusiones/ Conclusões

Consideramos que la existencia de unidades multidisciplinarias inmuno-hematooncológicas permiten la optimización de los recursos diagnósticos y terapéuticos, repercutiendo en beneficio de los pacientes en un mejor diagnóstico y adecuado tratamiento. Esto es especialmente importante en estos pacientes complejos ya que mejora su esperanza y calidad de vida, además del menor coste sanitario de reducir consultas/exploraciones

C0078 EXPERIENCIA EN DETECCIÓN PRECOZ Y SEGUIMIENTO DE SECUELAS DEL TRATAMIENTO MULIDISCIPLINAR EN EL CÁNCER INFANTIL, A CORTO Y MEDIO PLAZO; ASÍ COMO TRANSICIÓN A LA VIDA ADULTA

ANA MARIA CHAVEZ BARCO, MERCEDES LIVIA LLEMPEN LOPEZ (HUVROCIO, SEVILLA, ESPAÑA), JOSE IGNACIO GUTIERREZ CARRASCO (HUVROCIO, SEVILLA), PABLO CHAVEZ BARCO (CS VILLANUEVA SUR. VILLANUEVA DE LA SERENA), SARA MAYA ALMEIDA (EQUIPO DE SALUD MENTAL INFANTO - JUVENIL DON BENITO. CENTRO DE SALUD DON BENITO OESTE)

1 Objetivos/ Metas

Aunque cuantitativamente el cáncer en la infancia es poco frecuente, representa sólo el 1% de los tumores malignos diagnosticados en la población, siendo la principal causa de mortalidad infantil debido a una enfermedad. En los últimos años los resultados de los tratamientos de niños y adolescentes con cáncer han mejorado gracias a las terapias intensivas multimodales, siendo la supervivencia actual en torno al 80% en los países desarrollados; lo que significa que en la población entre 25-35 años 1/750 es superviviente de cáncer infantil. Aproximadamente que el 70% de los supervivientes de un cáncer infantil tiene al menos un efecto secundario al tratamiento y que el 30% tiene una complicación tardía seria. Si llevamos a cabo una identificación precoz y un manejo adecuado de estas complicaciones podemos mejorar la salud de los pacientes, así como su calidad de vida, y optimizar el uso de recursos de los sistemas de salud.

2 Material y Métodos/ Material e métodos

Presentamos la experiencia en la unidad de seguimiento de oncología pediátrica del HUV Rocío (Sevilla). Durante el periodo comprendido entre el 1 octubre 2020 hasta el 1 julio 2021, hemos registrado un total de 84 consultas, en la que hemos realizado 668 revisiones, ya que un mismo paciente puede ser valorado hasta 6 veces el mismo año. Hemos recibido un total de 30 primeras consultas, detectado hasta 11 recaídas, siendo una de ellas un segundo tumor; y dado el alta definitiva a 9 pacientes. Trabajamos de manera conjunta con Cardiología para establecer un protocolo de seguimiento adaptado al riesgo; y con Endocrinología en la preservación de la fertilidad, mediante obtención de corteza ovárica, en prepúberes y púberes que no permitan un retraso en el inicio de su tratamiento. Además, hemos incorporado una consulta mensual dedicada a pacientes con predisposición familiar al cáncer.

4 Conclusiones/ Conclusões

Los supervivientes de cáncer infantil deben recibir un seguimiento activo durante toda su vida. Es muy importante desarrollar estrategias que faciliten la transición entre el tratamiento activo y los cuidados a largo plazo y entre la edad pediátrica y adulta.

Son diversas las guías de recomendaciones desarrolladas para este fin, basadas en la revisión bibliográfica y la experiencia clínica de grupos de expertos. Con ellas tenemos la oportunidad de prevenir y/o identificar y manejar precozmente y de manera adecuada estas complicaciones para mejorar la salud de los supervivientes y su calidad de vida.



SEHOP
SOCIEDAD ESPAÑOLA
DE HEMATOLOGÍA Y ONCOLOGÍA
PEDIÁTRICAS

1^{ER} CONGRESO IBÉRICO DE HEMATOLOGIA Y ONCOLOGIA PEDIATRICAS

virtual

21 Y 23 SEPT 2021
28 Y 30 SEPT

C0079 IMPACTO DE LA IMPLANTACIÓN DE UN PROGRAMA DE ONCO-FERTILIDAD EN UNA UNIDAD DE ONCOLOGÍA DEL ADOLESCENTE Y ADULTO JOVEN.

Maitane Andión Catalán, Susana Buendía López (Servicio de Onco-Hematología Pediátrica. Hospital Infantil Universitario Niño Jesús. Madrid. España), Natalia Camarena Pavón (Servicio de Onco-Hematología Pediátrica. Hospital Infantil Universitario Niño Jesús. Madrid. España), David Ruano Domínguez (Servicio de Onco-Hematología Pediátrica. Hospital Infantil Universitario Niño Jesús. Madrid. España), Blanca Herrero Velasco (Servicio de Onco-Hematología Pediátrica. Hospital Infantil Universitario Niño Jesús. Madrid. España), Ana Luis Huertas (Servicio de Cirugía General Pediátrica. Hospital Infantil Universitario Niño Jesús. Madrid. España), Mónica Bellón Del Amo (Servicio de Ginecología. Hospital Clínico San Carlos. Madrid. España), Luis Madero López (Servicio de Onco-Hematología Pediátrica. Hospital Infantil Universitario Niño Jesús. Madrid. España)

1 Objetivos/ Metas

La infertilidad es uno de los efectos secundarios a largo plazo del tratamiento oncológico que condicionan la calidad de vida del superviviente. La implantación de programas de oncofertilidad (POF) ha demostrado mejorar la información ofrecida así como el porcentaje de pacientes que optan a realizar técnicas de preservación de fertilidad (PF). Presentamos el impacto del desarrollo de un POF en la Unidad de Oncología del Adolescente y Adulto Joven (UOA) de nuestro centro.

2 Material y Métodos/ Material e métodos

Se realiza una revisión retrospectiva (enero 2010-junio 2021) sobre el acceso a técnicas de PF en un Servicio de Oncología Pediátrica y el impacto de la implementación de un POF tras el desarrollo de una UOA en 2018 donde reciben tratamiento pacientes mayores de 11 años con neoplasias hematológicas y tumores sólidos (salvo tumores SNC).

3 Resultados

El Servicio de Oncología recibió un total de 234 pacientes mayores de 11 años en el período de estudio, excluyéndose 59 por precisar un tratamiento sin riesgo gonadotóxico o acudir para 2ª o posteriores líneas de tratamiento. La mediana de edad fue de 14,5 años (rango: 11,3 – 21,1), 53,2% varones. El programa incluyó la incorporación de especialistas en Ginecología y Medicina de Reproducción así como la implementación de técnicas de criopreservación de corteza ovárica (CCO) y vitrificación de ovocitos (VO) además de la criopreservación seminal (CS) ya disponible en nuestro centro. El porcentaje de pacientes a los que se ofertó PF y se llevó a cabo fue del 5,9% antes de 2018 frente al 45,6% y 33,3%, respectivamente, en el siguiente período. Las técnicas de PF realizadas a partir de 2018 fueron CS, VO y CCO en el 74, 21 y 5% de los casos, respectivamente. Las causas más frecuentes de no preservación fueron la inestabilidad clínica (20%) y la existencia de un déficit cognitivo asociado (20%) en varones. En mujeres, las causas más habituales fueron el diagnóstico de una enfermedad hematológica (51,6%) y una situación clínica comprometida (25,8%). Tres pacientes rechazaron realizar algún procedimiento de PF y en 4 casos la CS no tuvo éxito.

4 Conclusiones/ Conclusões

El diagnóstico de determinadas neoplasias y la inestabilidad clínica suponen con frecuencia un factor limitante para considerar técnicas de PF en el adolescente oncológico. Sin embargo, la implantación de un POF multidisciplinar favorece una adecuada información sobre el riesgo de infertilidad y facilita el acceso a técnicas de PF en este grupo de edad con el objetivo de mejorar su calidad de vida futura.



SEHOP
SOCIEDAD ESPAÑOLA
DE HEMATOLOGÍA Y ONCOLOGÍA
PEDIÁTRICAS

1^{ER} CONGRESO IBÉRICO DE HEMATOLOGÍA Y ONCOLOGÍA PEDIÁTRICAS

virtual

21 Y 23 SEPT 2021
28 Y 30 SEPT

C0080 MICROANGIOPATÍA TROMBÓTICA POST-TPH. LA COMPLEJIDAD DE SU DIAGNÓSTICO Y TRATAMIENTO

Andrea Urtasun Erburu, Pedro Arango Sancho (Nefrología Pediátrica, Hospital Sant Joan de Deu, Barcelona, España), Júlia Marsal Ricomà (Oncología Pediátrica, Unidad de Trasplante de Progenitores Hematopoyéticos, Hospital Sant Joan de Deu, España), María Fabregat Farran (Oncología, Hospital Sant Joan de Deu, Barcelona, España), Cristina Larrosa Espinosa (Oncología Pediátrica, Hospital Sant Joan de Deu, Barcelona, España), Nazareth Sánchez Sierra (Oncología Pediátrica, Hospital Sant Joan de Deu, Barcelona, España), Ana José Navarro García (Oncología Pediátrica, Hospital Sant Joan de Deu, Barcelona, España), Verónica Celis Passini (Oncología Pediátrica, Hospital Sant Joan de Deu, Barcelona, España)

1 Objetivos/ Metas

El objetivo del presente trabajo consiste en mostrar un caso representativo de la complejidad diagnóstica y especialmente terapéutica de una patología no infrecuente en el paciente pediátrico trasplantado de progenitores hematopoyéticos, con una alta morbilidad y mortalidad: La microangiopatía trombótica.

2 Material y Métodos/ Material e métodos

Descripción de un caso clínico y revisión de la literatura

3 Resultados

Se presenta el caso clínico de un niño de 8 años que desarrolla MAT post-TPH haploidéntico en contexto de enfermedad injerto contra huésped (EICH) e inmunosupresión con una evolución agresiva de la enfermedad a pesar del tratamiento multisistémico.

El paciente debuta 20 meses post-TPH con hipertensión arterial (HTA) y tendencia anémica, presentando un mes después citopenias hemolíticas graves, proteinuria y fallo renal (IR). Ante la alta sospecha de MAT se realiza estudio del complemento y biopsia renal, evidenciándose consumo de C3, aumento del complejo C5b-9 y signos anatomopatológicos típicos de microangiopatía. Pese a la administración precoz de eculizumab como terapia dirigida a frenar el consumo del complemento y pese a la optimización del tratamiento antihipertensivo e inmunosupresor (incluida la realización precoz de plasmaféresis), el paciente desarrolla una poliserositis grave en forma de derrame pleural-pericárdico, anasarca refractaria y fallo multiorgánico, con desenlace fatal.

4 Conclusiones/ Conclusões

Es fundamental mantener un alto índice de sospecha de MAT en el paciente pediátrico receptor de progenitores hematopoyéticos, ya que sus manifestaciones pueden ser atípicas y/o tardías y el inicio precoz del tratamiento es el mayor factor pronóstico de la enfermedad.



SEHOP
SOCIEDAD ESPAÑOLA
DE HEMATOLOGÍA Y ONCOLOGÍA
PEDIÁTRICAS

SOCIEDADE DE HEMATOLOGIA
E ONCOLOGIA PEDIATRICA
DA SOCIEDADE PORTUGUESA DE PEDIATRIA

1^{ER} CONGRESO IBÉRICO DE HEMATOLOGIA Y ONCOLOGIA PEDIATRICAS

virtual

21 Y 23 SEPT 2021
28 Y 30 SEPT

C0081 CÁNCER EN LOS PRIMEROS 18 MESES DE VIDA

Andrea Urtasun Erburu, María José Herrero Cervera (Farmacia, Farmacogenética, Hospital Universitario y Politécnico La Fe, Valencia, España), Adela Cañete Nieto (Oncología Pediátrica, Hospital Universitario y Politécnico La Fe, Valencia, España)

1 Objetivos/ Metas

Descripción de las características clínicas, diagnósticas y terapéuticas de pacientes oncológicos menores de 18 meses receptores de quimioterapia en un hospital terciario español

2 Material y Métodos/ Material e métodos

Estudio descriptivo retrospectivo. Los criterios de inclusión de la población son:

- Diagnóstico de enfermedad oncohematológica
- Edad al diagnóstico \leq 18 meses
- Recepción de quimioterapia
- Temporalidad al diagnóstico: Enero 2007 – Agosto 2019
- Disponibilidad de datos clínicos (epidemiológicos, diagnósticos, supervivencia)

3 Resultados

Fueron diagnosticados 72 pacientes de patología oncológica que precisó quimioterapia en el Hospital La Fe. 4 de ellos presentaron más de una neoplasia, sumando un total de 76 en dicho periodo. La neoplasia de mayor incidencia fue la leucemia (21 pacientes), seguida del neuroblastoma (15 pacientes), los TSNC central (12 pacientes), el retinoblastoma (9 pacientes, 13 neoplasias), TW (7 pacientes), el hepatoblastoma (5 pacientes) y el sarcoma (3 pacientes). En conjunto, el 70,8% de los pacientes fue diagnosticado de tumor sólido (51/72) frente al 29,2% diagnosticados de leucemia (21/72). La mediana de edad al diagnóstico fue de 9,5 meses, con ligero predominio de sexo masculino (54,2%) frente a femenino (45,8%).

13 pacientes (18,1% del total) se encontraban asintomáticos al diagnóstico. 15 debutaron con SAV (20,8%), siendo la mayoría de los tumores de origen neural: 7 casos de tumores SNC (46,6% de los SAV) y 6 casos de tumores del SNP tipo neuroblastoma (40% de los SAV).

El 45,8% de los pacientes (33/72) presentaron un estadio tumoral “avanzado” desde el diagnóstico. Analizando los tumores sólidos, 17 presentaron metástasis al inicio (23,6% del total), 12 casos (16,6%) si excluimos los 5 casos con neuroblastoma MS.

LLA B y fusiones genéticas que involucren al gen MLL (11q23): Presente en el 46% de los casos (6/13), todos implican leucemias de muy alto riesgo.

Neuroblastoma y amplificación nMYC: Presente en el 6,6% de los casos (1/15), paciente que recayó y falleció. 3 pacientes presentaron alteraciones cromosómicas segmentarias (ACS) (37,5%). 3 pacientes presentan retinoblastoma bilateral (3/10, 30%), enviados a Consejo Genético. En uno de ellos se registra la mutación (c224G>A) en el exón 2 del gen RB1.

4 Conclusiones/ Conclusões

Las neoplasias que afectan a los pacientes menores de 18 meses presentan diferencias importantes respecto a otros grupos pediátricos a nivel clínico, diagnóstico y terapéutico. Tener en cuenta estas particularidades permite un diagnóstico precoz, un tratamiento más adecuado y un pronóstico más favorable, por lo que resulta fundamental su conocimiento por parte los profesionales que trabajamos con pacientes pediátricos.



SEHOP
SOCIEDAD ESPAÑOLA
DE HEMATOLOGÍA Y ONCOLOGÍA
PEDIÁTRICAS

1^{ER} CONGRESO IBÉRICO DE HEMATOLOGIA Y ONCOLOGIA PEDIATRICAS

virtual

21 Y 23 SEPT 2021
28 Y 30 SEPT

C0083 ESTUDIO EVOLUTIVO DE UNA SERIE DE CASOS DE NEUTROPENIA AUTOINMUNE INFANTIL

Hermenegildo González García (Hospital Clínico Universitario de Valladolid, , Valladolid, España), Sheila Cenzano Ruiz, Marta Villalón Herrera (Hospital Clínico Universitario de Valladolid. Valladolid. España.), Blanca Llorente Sanz (Hospital Clínico Universitario de Valladolid. Valladolid. España.), José Luis Moreno Carrasco (Hospital Clínico Universitario de Valladolid. Valladolid. España.), Nazaret Sánchez Sierra (Hospital Clínico Universitario de Valladolid. Valladolid. España.), Alejandra Vela Martín (Hospital Clínico Universitario de Valladolid. Valladolid. España.), Raquel Herraiz Cristobal (Hospital Clínico Universitario de Valladolid. Valladolid. España.)

1 Objetivos/ Metas

Objetivo: analizar las formas clínicas de presentación y evolución de las neutropenias autoinmunes (NA), primarias (NAP) y secundaria (NAS) en población pediátrica.

2 Material y Métodos/ Material e métodos

Materiales y métodos: Estudio de cohortes retrospectivo sobre una serie de casos consecutivos de neutropenia desde 2000 a 2021. Se excluye la neutropenia asociada a cáncer o tratamiento oncológico. El tipo de neutropenia, congénita o adquirida, y su diagnóstico final, se realizó después de un periodo de seguimiento y de valoración de pruebas complementarias pertinentes.

3 Resultados

Resultados: Se incluyeron 106 casos y predominaron las formas adquiridas (98 casos, 92,45%) sobre las congénitas (8 casos, 7,54%): cíclica (3), familiar (3) y Anemia de Fanconi (2). De las adquiridas 25 fueron postinfecciosas (23,6%), 6 (5,7%) crónica idiopática, un caso de aplasia medular adquirida idiopática y otro agranulocitosis. Las adquiridas más frecuentes fueron inmunes: 3 neonatales aloinmune y NA en 62 (58,49% del total), con anticuerpos antineutrófilos positivos, tipo Ig G o IgM, en el test dierecto o indirecto. El diagnóstico final fue NAS en 12, 10 mujeres (83,3%) y 2 varones (16,7%) y mediana de edad de 11,5, siendo en 11 casos asociados a fenómenos inmunitarios (artritis ANA+, asociación con otras citopenias inmunes, anticuerpos antitiroideos...) y en un caso de 3 meses de edad que después de tres meses presentó una leucemia mieloide. La NAP fue el grupo más numerosos (50) y con respecto a la NAS, de forma significativa, predominaron los varones (58% frente a 16,7%), la edad al diagnóstico fue muy inferior (0,99 años), el recuento absoluto de neutrófilos al diagnóstico fue menor (590 frente a 917) y la recuperación de la neutropenia mayor (74% frente a 8,3%). En la NAP la mediana del tiempo de persistencia de la neutropenia fue de 2,8 años. El motivo de hallazgo en la NAP predominó la realización de analítica por infección aguda o casual por analítica. Solo un 10% de NAP se presentaron infecciones graves y en el 33,33% de NAS. Se utilizó G-CSF en 3 casos de las NAP y en 2 de los casos de NAS.

4 Conclusiones/ Conclusões

Conclusiones: La NAP aparece a edades tempranas (< 2 años) y suele ser de curso benigno, su evolución es hacia la resolución después de entre 2 y 4 años en la mayoría de los casos. La NAS suele comenzar en edades escolares y se asocia con fenómenos autoinmunitarios. Los niños con neutropenia crónica deben someterse a un programa de seguimiento en centros especializados.



SEHOP
SOCIEDAD ESPAÑOLA
DE HEMATOLOGÍA Y ONCOLOGÍA
PEDIÁTRICAS

1^{ER} CONGRESO IBÉRICO DE HEMATOLOGIA Y ONCOLOGIA PEDIATRICAS

virtual

21 Y 23 SEPT 2021
28 Y 30 SEPT

C0084 TENDENCIA TEMPORAL DEL CÁNCER INFANTIL EN CASTILLA Y LEÓN (2003-2018).

Hermenegildo González García (Hospital Clínico Universitario de Valladolid, , Valladolid, España), Blanca Llorente Sanz, Guiomar Carreras Zurro (Hospital Clínico Universitario de Valladolid. Valladolid. España.), Elena Pérez Gutiérrez (Hospital Clínico Universitario de Valladolid. Valladolid. España.), José Luis Moreno Carrasco (Hospital Clínico Universitario de Valladolid. Valladolid. España.), Alejandra Vela Martín (Hospital Clínico Universitario de Valladolid. Valladolid. España.), Sheila Cenzano Ruiz (Hospital Clínico Universitario de Valladolid. Valladolid. España.), Raquel Herraiz Cristobal (Hospital Clínico Universitario de Valladolid. Valladolid. España.)

1 Objetivos/ Metas

Aportar la incidencia, supervivencia y tendencia temporal del cáncer infantil en Castilla y León entre 2003 a 2018, y compararlos con series nacionales e internacionales.

2 Material y Métodos/ Material e métodos

Los casos se extrajeron del registro poblacional de tumores infantiles de Castilla y León y fueron clasificados en doce grupos tumorales de acuerdo a las normas internacionales. La incidencia se ajustó por edad a la población mundial (ASRw, IC95%). El análisis de supervivencia se realizó mediante el método de Kaplan-Meier y su comparación mediante el test de Log-Rank. El análisis de tendencias se realizó por el método de regresión lineal de Jointpoint.

3 Resultados

Se registraron 826 casos nuevos con incidencia estandarizada (ASRw) global de 173,49 casos por 10⁶ niños/año. La mediana de edad fue de 6,95 años y la razón de masculinidad 1,35. Por orden de frecuencia destacaron las Leucemias (24,1%), (Incidencia estandarizada: 43,71/millón), Tumores del SNC (23,2%) (Incidencia estandarizada: 41,47/millón) y Linfomas (14,8%), (Incidencia estandarizada: 24,07/millón). Predominaron los varones en todos los grupos tumorales salvo en leucemias, hepáticos y tumores de células germinales y gonadales. Por grupos de edad predominaron el grupo de 0-4 años (39%), seguido del grupo de 10-14 años (32,8%) y por último 5-9 años (28,2%). La supervivencia a los de 3 y 5 años del diagnóstico fue del 86% (IC al 95%:83,9-87,8) y del 85% (IC al 95%:82,9-86,8), sin diferencia por sexo y por grupos de edad. Los fallecimientos (n=139) se produjeron fundamentalmente por tumores del SNC (38,2%, n=53) y por leucemias (24,46%, n=34). La tendencia temporal del cáncer infantil presentó de forma global estabilidad de la incidencia, con un porcentaje anual de cambio (APC) del - 1,1 % (IC95%:-2,3; 0,2), sin significación estadística y sin puntos de inflexión. Sólo se apreció un descenso significativo para leucemias (APC: -2,95; IC 95%: -5,7; -0,1) y estabilización en el resto de grupos, así como estabilización por grupos de edad y sexo.

4 Conclusiones/ Conclusões

En Castilla y León la incidencia de cáncer infantil es alta en relación a series nacionales e internacionales, y en relación a éstas la incidencia de tumores del SNC y linfomas son superiores e inferiores de leucemias. Las leucemias en Castilla y León predominan en el sexo femenino. En Castilla y León se ha objetivado una estabilidad de la incidencia de cáncer infantil de forma global pero con descenso significativo de la incidencia de leucemias pediátricas.



SEHOP
SOCIEDAD ESPAÑOLA
DE HEMATOLOGÍA Y ONCOLOGÍA
PEDIÁTRICAS

1^{ER} CONGRESO IBÉRICO DE HEMATOLOGIA Y ONCOLOGIA PEDIATRICAS

virtual

21 Y 23 SEPT 2021
28 Y 30 SEPT

C0085 TRASPLANTE DE PROGENITORES HEMATOPOYÉTICOS EN LA ANEMIA DE CÉLULAS FALCIFORMES. EXPERIENCIA EN NUESTRO CENTRO

José Manuel Marco Sánchez, Marina García Morín (Unidad de Oncohematología Infantil, Hospital General Universitario Gregorio Marañón, Madrid, España), Cristina Beléndez Bieler (Unidad de Oncohematología Infantil, Hospital General Universitario Gregorio Marañón, Madrid, España), Jorge Huerta Aragonés (Unidad de Oncohematología Infantil, Hospital General Universitario Gregorio Marañón, Madrid, España), Eduardo Bardón Cancho (Unidad de Oncohematología Infantil, Hospital General Universitario Gregorio Marañón, Madrid, España), Carmen Garrido Colino (Unidad de Oncohematología Infantil, Hospital General Universitario Gregorio Marañón, Madrid, España), Cristina Mata Fernández (Unidad de Oncohematología Infantil, Hospital General Universitario Gregorio Marañón, Madrid, España), Elena Cela de Julián (Unidad de Oncohematología Infantil, Hospital General Universitario Gregorio Marañón, Madrid, España)

1 Objetivos/ Metas

Evaluar la supervivencia global (SG) y libre de eventos (SLE), así como las complicaciones asociadas al alo-TPH en pacientes con drepanocitosis en nuestro centro.

2 Material y Métodos/ Material e métodos

Estudio descriptivo unicéntrico, en pacientes con drepanocitosis sometidos a alo-TPH familiar HLA-idénticos, entre mayo de 2010 y junio de 2021.

Hasta enero de 2015, el régimen de acondicionamiento utilizado consistía en: busulfán, ciclofosfamida y alemtuzumab; utilizando ciclosporina A (CsA) y metotrexate (MTX) como profilaxis de la enfermedad injerto contra receptor (EICR). Posteriormente, se utilizó un régimen de toxicidad reducida con: tiotepa, treosulfán, fludarabina y globulina antitumoral, utilizando CsA o tacrolimus combinados con micofenolato mofetilo (MMF).

Para evitar complicaciones neurológicas, se aplicó profilaxis anticomial desde el inicio de la inmunosupresión hasta su retirada, manteniéndose plaquetas >50.000/L, hemoglobina >11 g/dL con manejo precoz de la hipertensión arterial e hipomagnesemia.

3 Resultados

Se realizaron un total de 47 alo-TPH en 46 pacientes (23 varones; 50%), con una edad mediana de 6 años (p25 2;p75 9). De los donantes, 72% tenían serología IgG+ para CMV, 48% eran rasgo falciforme y en un 15% de los casos había incompatibilidad mayor de grupo.

Respecto a las complicaciones durante el alo-TPH, 41% de los pacientes tuvo EICR agudo (la mayoría de grado leve: 89,5% EICH grado I-II; 10,5% grado III-IV) con afectación mayoritariamente cutánea (94% cutáneo, 21% hepático y 5% intestinal). 50% tuvo mucositis y 1/47 síndrome de obstrucción sinusoidal. Ninguno tuvo EICR crónica.

2 pacientes desarrollaron fallo secundario de injerto: el primero de ellos en el día +180, actualmente en quimerismo completo tras un segundo alo-TPH del mismo donante; el segundo en el mes +3 tras una sepsis por *Pseudomonas*.

1/47 fue éxito en el día +50 por EICHa grado IV. La supervivencia global (SG) fue del 97,9%, y la supervivencia libre de eventos (EFS) del 93,3%, con una mediana de seguimiento de 40 meses (p25 21,5;p75 66,5). Actualmente, el 12,7% de los pacientes se mantienen en quimerismo mixto (5/47), 3 con quimerismo mixto estable y 2 pendiente de ver evolución.

4 Conclusiones/ Conclusões

Continúa siendo debate el balance riesgo-beneficio entre la elevada morbimortalidad de esta enfermedad, el riesgo de toxicidad y complicaciones relacionadas con el alo-TPH, y su potencial curativo.

El estudio realizado en nuestro centro muestra resultados similares a los de la cohorte internacional, confirmando el importante papel del alo-TPH familiar para los pacientes con drepanocitosis.



SEHOP
SOCIEDAD ESPAÑOLA
DE HEMATOLOGÍA Y ONCOLOGÍA
PEDIÁTRICAS

1^{ER} CONGRESO IBÉRICO DE HEMATOLOGIA Y ONCOLOGIA PEDIATRICAS

virtual

21 Y 23 SEPT 2021
28 Y 30 SEPT

C0086 SELUMETINIB EN NEUROFIBROMAS PLEXIFORMES EN PEDIATRÍA: EXPERIENCIA DE UN CENTRO

Jimena de Pedro Olabarrí, Ainhoa Garcia Ribes (Unidad de Neurología pediátrica. H. Universitario Cruces. Barakaldo, España), Amaia Salmón Rodríguez (Unidad de Neurología pediátrica. H. Universitario Cruces. Barakaldo España), Marta Galdos Iztueta (Oftalmología Infantil. H. Universitario Cruces. Barakaldo España.), Paula Gonzalez Urdiales (Unidad de Oncología/Hematología pediátrica. H. Universitario Cruces. IIS Biocruces Bizkaia. Barakaldo España), Itziar Astigarraga Aguirre (Unidad de Oncología/Hematología pediátrica. H. Universitario Cruces. IIS Biocruces Bizkaia. Barakaldo España), Miguel Garcia Ariza (Unidad de Oncología/Hematología pediátrica. H. Universitario Cruces. IIS Biocruces Bizkaia. Barakaldo España), Ricardo López Almaraz (Unidad de Oncología/Hematología pediátrica. H. Universitario Cruces. IIS Biocruces Bizkaia. Barakaldo España)

1 Objetivos/ Metas

Presentar la experiencia en nuestro centro de la utilización de Selumetinib, inhibidor selectivo de la vía de las MAPK (MEK1/2), en niños con Neurofibromatosis tipo 1 (NF1) que presentaban Neurofibromas Plexiformes (NP) inoperables que se acompañaban de complicaciones importantes.

2 Material y Métodos/ Material e métodos

Estudio descriptivo de las características clínico-radiológicas y efecto del tratamiento de niños con Neurofibromatosis tipo 1 (NF1) confirmada que asociaban NP inoperable con morbilidad significativa, tratados con Selumetinib desde febrero de 2020 en un hospital terciario.

3 Resultados

Presentamos 2 casos de NF-1 diagnosticados de NP a los 9 meses y 10 años de vida tratados con selumetinib. Caso 1: Mujer de 3 años con un NP de gran tamaño en región cervicofacial derecha que le ocasionaba una hipoacusia y una proptosis. A los 11 meses se inició tratamiento con Rapamicina hasta su sustitución por Selumetinib con 3 años (rechazado previamente por edad, peso e imposibilidad de tragar pastillas). Mejoría clínica inicial con la Rapamicina, pero más evidente a los dos meses del tratamiento con Selumetinib. A nivel radiológico (iRM) la enfermedad se mantiene estable. Caso 2: Varón de 12 años con NP en extremidad inferior izquierda (región posterior de muslo, pierna y pie) que en el último año habían aumentado significativamente de tamaño produciendo dolor, disestesias con mala calidad de vida. Se inició Selumetinib a los 12 años y medio. Mejoría clínica al mes de iniciar el tratamiento. A nivel de iRM reducción del volumen de la lesión del 20% respecto al basal. La dosis de inicio fue 25mg/m²/12 horas siendo muy bien tolerado y sin efectos secundarios tras 17 meses del inicio en ambos casos.

4 Conclusiones/ Conclusões

El Selumetinib ha sido un tratamiento seguro y eficaz para los NP complicados en NF1 y los resultados en estos 2 pacientes apoyan el beneficio descrito en los ensayos clínicos. Sin embargo, todavía persisten las incógnitas en cuánto tiempo mantener el tratamiento con selumetinib tras haber demostrado su eficacia y los posibles efectos a largo plazo, como ocurre con otros fármacos inhibidores de la vía MAPK en otros tumores.



SEHOP
SOCIEDAD ESPAÑOLA
DE HEMATOLOGÍA Y ONCOLOGÍA
PEDIÁTRICAS

SOCIEDADE DE HEMATOLOGIA
E ONCOLOGIA PEDIATRICA
DA SOCIEDADE PORTUGUESA DE PEDIATRIA

1^{ER} CONGRESO IBÉRICO DE HEMATOLOGIA Y ONCOLOGIA PEDIATRICAS

virtual

21 Y 23 SEPT 2021
28 Y 30 SEPT

C0087 SARCOMA DE EWING RENAL, A PROPÓSITO DE UN CASO.

Rocio Vila de Frutos, Sara Vinagre Enríquez (Hospital Infantil Universitario Niño Jesús), Carlos González Pérez (Hospital Infantil Universitario Niño Jesús), Blanca Herrero Velasco (Hospital Infantil Universitario Niño Jesús), Ana Isabel Benito Bernal (Hospital Infantil Universitario Niño Jesús), David Ruano Domínguez (Hospital Infantil Universitario Niño Jesús)

1 Objetivos/ Metas

El sarcoma de Ewing (SE) es el segundo tumor óseo maligno más frecuente en la edad pediátrica, siendo rara su localización extraósea (partes blandas y vísceras), ya que sólo supone un 10% de los casos. La localización renal del SE es todavía menos habitual, y raramente se incluye en el diagnóstico diferencial de los tumores renales infantiles. Esta variante afecta predominantemente a adultos jóvenes, siendo un tumor agresivo, especialmente si es metastásico. Se presenta con hematuria y dolor abdominal y es indistinguible en las pruebas de imagen de otros tumores primarios de partes blandas. Del mismo modo que el resto de tumores de la familia del SE, su diagnóstico se basa en la combinación de estudios anatomopatológicos, inmunohistoquímicos y moleculares.

Dada su baja frecuencia, el objetivo es presentar un caso de SE de localización renal en un lactante y revisión de la literatura.

2 Material y Métodos/ Material e métodos

Revisión retrospectiva de la historia clínica del paciente y búsqueda de artículos relacionados en la base de datos PUBMED.

3 Resultados

Paciente de un año de edad, sin antecedentes de interés, con tumoración renal izquierda objetivada en ecografía tras presentar dos episodios de macrohematuria sin otros síntomas. Se completó estudio con resonancia magnética y TC de tórax, objetivando una masa en el tercio superior del riñón izquierdo, de 2.5 cm, compatible radiológicamente con tumor de Wilms y sin metástasis. Recibió quimioterapia preoperatoria según protocolo SIOP-UMBRELLA, sin respuesta radiológica. Se realizó resección de la masa, con nefrectomía izquierda y linfadenectomía. En el análisis anatomopatológico se objetivó una proliferación de células redondas pequeñas y azules en sábana, sin necrosis post-quimioterapia y con afectación del borde quirúrgico a nivel del hilio renal, con ganglios negativos, y EWS-FLI1 positivo, compatible con SE.

Se amplió el estudio de extensión, sin evidencia de enfermedad metastásica, continuando tratamiento según la rama B del protocolo Euroewing2012. Adicionalmente la paciente recibió radioterapia adyuvante dada la infiltración microscópica del margen quirúrgico.

4 Conclusiones/ Conclusões

La localización extraósea del SE es poco frecuente, siendo excepcional la afectación renal, especialmente en el rango de edad de nuestra paciente. No existen recomendaciones específicas para el manejo de estos casos, siendo práctica habitual el tratamiento multimodal similar al SE óseo.



SEHOP
SOCIEDAD ESPAÑOLA
DE HEMATOLOGÍA Y ONCOLOGÍA
PEDIÁTRICAS

SOCIEDADE DE HEMATOLOGIA
E ONCOLOGIA PEDIATRICA
DA SOCIEDADE PORTUGUESA DE PEDIATRIA

1^{ER} CONGRESO IBÉRICO DE HEMATOLOGIA Y ONCOLOGIA PEDIATRICAS

virtual

21 Y 23 SEPT 2021
28 Y 30 SEPT

C0089 CARACTERÍSTICAS PSICOLÓGICAS DE PACIENTES PEDIÁTRICOS CON CÁNCER ATENDIDOS POR UNA UNIDAD DE CUIDADOS PALIATIVOS PEDIÁTRICOS Y SUS FAMILIAS

Íñigo de Noriega Echevarría (Pediatria, HU Puerta de Hierro-Majadahonda, Majadahonda, España), Carola del Rincón Fernández (Unidad de Atención Integral Paliativa Pediátrica, Hospital Infantil Universitario Niño Jesús, Madrid, España), Ricardo Martino Alba (Unidad de Atención Integral Paliativa Pediátrica, Hospital Infantil Universitario Niño Jesús Madrid, España), Raquel Jiménez García (Servicio de Pediatría, Hospital Infantil Universitario del Niño Jesús), Luis Madero López (Servicio de Hematología y Oncología Pediátrica, Hospital Infantil Universitario del Niño Jesús), Blanca Herrero Velasco

1 Objetivos/ Metas

Los cuidados paliativos pediátricos (CPP) buscan proporcionar una atención integral a los pacientes con enfermedades amenazantes para la vida. Se conocen pocos datos en nuestro entorno de las características de los niños con cáncer atendidos por unidades de CPP y su atención psicológica.

2 Material y Métodos/ Material e métodos

Estudio retrospectivo de análisis de historia clínicas de pacientes con cáncer atendidos por la Unidad de CPP de un hospital terciario en un periodo 10 años (01/01/2010-31/12/2019). Se recogieron datos de las características epidemiológicas, patología psiquiátrica previa del paciente y sus cuidadores, grado de conocimiento de su enfermedad, cohesión familiar y comunicación emocional.

3 Resultados

De un total 171 pacientes, en 133 (77.8%) se disponían de datos sobre su situación psicológica durante el seguimiento. Un 58.7% eran varones con una mediana de edad al inicio de la atención por CPP de 9 años (RIQ: 6-14). Un 15.0% presentaban neoplasias hematológicas, un 38.4% tumores del sistema nerviosa central y un 46.6% tumores sólidos. 132 pacientes fueron seguidos hasta su fallecimiento y en un caso se produjo el alta por deseo de los padres.

Un 4.1% de los pacientes presentaban patologías psiquiátrica/psicológica previas (2 pacientes depresión, 2 pacientes retraso mental, 1 paciente trastorno del espectro autista, 1 trastorno ansioso). Durante el seguimiento, un 42.9% presentó sintomatología ansiosa, con un 30.8% requiriendo intervenciones farmacológicas (puntuales o crónicas) y en un 21.1% intervenciones específicas por parte de psicología. Un 1.5% presentó sintomatología depresiva con necesidad de tratamiento farmacológico. El grado de conocimiento de la enfermedad no se recogió en un 24.1% de los pacientes; del resto, en un 23.7% éste no era evaluable, un 2.0% era no conocedor, un 13.9% ligeramente conocedor, un 25.7% bastante conocedor, y un 34.7% totalmente conocedor.

En cuanto a los cuidadores en un 10.5% de los casos algún cuidador presentaba patología psiquiátrica previa y en un único caso se detectó un duelo patológico previo. El grado de sobrecarga detectado fue leve en un 78.2%, moderado en un 18.8%, alto en un 0.8% e intensa en un 2.3%. La dinámica de cohesión familiar fue armónica en un 82.0%, con cierta fricción en un 11.3% y con problemas evidentes en un 6.8%. La comunicación emocional en el seno de la familia fue adecuada en un 83.5%, evitativa en un 15.0% y con sobreexpresión en un 1.5%.

4 Conclusiones/ Conclusões

Si bien con limitaciones derivadas de su metodología, se evidenciaron una tipología heterogénea de problemas en un porcentaje importante de casos.



SEHOP
SOCIEDAD ESPAÑOLA
DE HEMATOLOGÍA Y ONCOLOGÍA
PEDIÁTRICAS

1^{ER} CONGRESO IBÉRICO DE HEMATOLOGÍA Y ONCOLOGÍA PEDIÁTRICAS

virtual

21 Y 23 SEPT 2021
28 Y 30 SEPT

C0090 ESCALA DE VALORACIÓN DE ALERTA TEMPRANA (EVAT) EN PLANTA DE HOSPITALIZACIÓN DE ONCOLOGÍA/HEMATOLOGÍA PEDIÁTRICA (OHP): IMPLEMENTACIÓN Y EFICACIA

Marta Menchaca Torio, Susana García Obregón (Grupo de Oncología pediátrica. Instituto de Investigación Sanitaria, Biocruces Bizkaia. Departamento de Fisiología Universidad del País Vasco UPV/ EHU , Leioa, España), M^a Jose López de la Serna (Unidad de Oncología y Hematología pediátrica, Hospital Universitario Cruces. Grupo de Oncología pediátrica. Instituto de Investigación Sanitaria, Biocruces Bizkaia. Barakaldo, España), Itziar Astigarraga Aguirre (Unidad de Oncología y Hematología pediátrica, Hospital Universitario Cruces. Grupo de Oncología pediátrica. Instituto de Investigación Sanitaria, Biocruces Bizkaia. Departamento de Pediatría, Universidad del País Vasco UPV/ EHU, Leioa, España), M^a Pilar Martín Lucas (Unidad de Oncología y Hematología pediátrica, Hospital Universitario Cruces, Barakaldo, España), Margarita Díaz Fuentes (Unidad de Oncología y Hematología pediátrica, Hospital Universitario Cruces, Barakaldo, España), Irache Sanz Chaves (Unidad de Oncología y Hematología pediátrica, Hospital Universitario Cruces, Barakaldo, España), Ricardo López-Almaraz (Unidad de Oncología y Hematología pediátrica, Hospital Universitario Cruces. Grupo de Oncología pediátrica. Instituto de Investigación Sanitaria, Biocruces Bizkaia, Barakaldo, España)

1 Objetivos/ Metas

Análisis de la implementación de una EVAT en planta de hospitalización de una Unidad de OHP, para detectar de forma precoz el deterioro clínico del paciente ingresado y la necesidad de traslado a Unidad de Cuidados Intensivos Pediátricos (UCIP).

2 Material y Métodos/ Material e métodos

Estudio descriptivo (diciembre 2017-septiembre 2018) de la implementación en nuestro centro, previo pilotaje (noviembre 2017) de EVAT validada para Oncología Pediátrica (0-18 años) "Pediatric-Early-Warning-System" (Onco-PEWS). Todo el personal de la Unidad de OHP y UCIP recibió formación específica. Enfermería asigna un valor numérico al estado neurológico, cardiovascular y respiratorio entre 0-≥5. El pediatra es responsable de la valoración del niño-adolescente con puntuaciones anormales. La puntuación se traslada a una escala de actuación: Onco-PEWS=0-2(verde): enfermera controla al niño c/4 horas, 3-4(amarillo): avisa al médico, sigue con las órdenes prescritas y estrecha la vigilancia, y ≥5(rojo): cumple criterios de valoración por médico de UCIP. Análisis estadístico mediante el paquete SPSS27.0.

3 Resultados

Se analizaron 301 ingresos en la planta de OHP: 52,2% ciclos de quimioterapia (QT), 26,9% fiebre, 6,6% cirugía y 2% otras complicaciones del tratamiento/enfermedad. Enfermedad de base: 138 leucemias, 32 linfomas, 38 tumores cerebrales y 93 tumores sólidos extra-craneales. Registro Onco-PEWS completo 63,8%. Al ingreso: 93,7% verde, 6% amarillo, 0,1% rojo. Al alta de la planta: 98,3% verde. Durante la estancia: Onco-PEWS deteriorados 15,1%, paso de amarillo-verde 14,9%, 0 de amarillo-rojo, y rojos 2,4%. Aviso al médico 14,1%. Intervenciones terapéuticas 11,7%: tres casos con Onco-PEWS amarillo mejoraron (2 con cirugía), y se detectaron 8 rojos; de los que el 75% fueron trasladados a UCIP en < 1h. Mortalidad del 0,33% (un caso de LMA en 1^a recaída, que fallece en planta con cuidados paliativos por refractariedad).

4 Conclusiones/ Conclusões

En nuestra experiencia, el Onco-PEWS fue una herramienta de apoyo que objetiva la toma de constantes, disminuye la variabilidad interpersonal y proporciona intervenciones precisas a tiempo y en el lugar adecuado. Ha sido una herramienta útil para la detección precoz de pacientes con riesgo de deterioro clínico y que pueden beneficiarse de atención médica dirigida y traslado a UCIP. El beneficio demostrado en estos resultados ha facilitado su implementación definitiva en la práctica clínica de nuestra Unidad para la atención y mejora de la calidad asistencial a los pacientes pediátricos con cáncer.



SEHOP
SOCIEDAD ESPAÑOLA
DE HEMATOLOGÍA Y ONCOLOGÍA
PEDIÁTRICAS

SOCIEDADE DE HEMATOLOGIA
E ONCOLOGIA PEDIATRICA
DA SOCIEDADE PORTUGUESA DE PEDIATRIA

1^{ER} CONGRESO IBÉRICO DE HEMATOLOGIA Y ONCOLOGIA PEDIATRICAS

virtual

21 Y 23 SEPT 2021
28 Y 30 SEPT

C0091 ASISTENCIA SOCIAL A PACIENTES PEDIÁTRICOS CON CÁNCER ATENDIDOS POR UNA UNIDAD DE CUIDADOS PALIATIVOS PEDIÁTRICOS

Íñigo de Noriega Echevarría (Pediatria, HU Puerta de Hierro-Majadahonda, Majadahonda, España), Alejandro González Peña (Unidad de Atención Integral Paliativa Pediátrica, Hospital Infantil Universitario del Niño Jesús, Madrid, España), Raquel Jiménez García (Servicio de Pediatría, Hospital Infantil Universitario del Niño Jesús, Madrid, España), Ricardo Martino Alba (Unidad de Atención Integral Paliativa Pediátrica, Hospital Infantil Universitario del Niño Jesús Madrid, España), Luis Madero López (Servicio de Hematología y Oncología Pediátrica, Hospital Infantil Universitario del Niño Jesús, Madrid, España), Blanca Herrero Velasco

1 Objetivos/ Metas

Los cuidados paliativos pediátricos (CPP) buscan proporcionar una atención integral a los pacientes con enfermedades amenazantes para la vida, incluyendo los aspectos sociales. No se conocen datos en nuestro entorno sobre las prestaciones proporcionadas desde trabajo social a los pacientes atendidos por unidades de CPP.

2 Material y Métodos/ Material e métodos

Estudio retrospectivo de análisis de historias clínicas de pacientes con cáncer atendidos por la Unidad de CPP de un hospital terciario en un periodo 10 años (01/01/2010-31/12/2019). Se recogieron datos de las características epidemiológicas, intervenciones en domicilio, escolarización, ocio, terapias y otros ámbitos de actuación, así como la colaboración por parte de entidades públicas o privadas en la provisión de asistencia social.

3 Resultados

De un total 171 pacientes, 137(80.1%) disponían de datos sobre la intervención de trabajo social, siendo un 58.4% varones con una mediana de edad al inicio de la atención de 9 años (RIQ: 5-14). Un 16.1% presentaban neoplasias hematológicas, 38.7% tumores del sistema nervioso central y 45.3% tumores sólidos. Un paciente fue dado de alta tras la curación de su enfermedad, falleciendo los 136 restantes.

En un 35.8% de los pacientes se registraron intervenciones en torno al domicilio, en un 32.9% con la adaptación del domicilio y en 2.9% facilitando la búsqueda de domicilio. En un 6.6% se realizaron actuaciones en el ámbito de la escolarización, en un 5.8% se colaboró en la escolarización en domicilio y en un caso se intervino para facilitar la comunicación con el colegio sobre la situación del paciente. En un 15.3% se colaboró en la organización de actividades de ocio, en un 3.9% se favoreció las reuniones con familiares fuera del país y en un 6.6% se facilitó la compañía de personal voluntario. En un 33.6% se registraron iniciativas relacionadas con terapias (27.7% facilitación de material ortoprotésico, 2.9% musicoterapia, 6.6% fisioterapia). En un 19.7% se buscó apoyo económico por parte de terceras entidades y en un 1.5% orientación jurídica. En un 75.2% de los casos se apoyó a la familia en la organización de los trámites funerarios. En un 8.8% de los pacientes se colaboró con instituciones públicas y en un 51.1% con entidades privadas para facilitar la prestación de atención social.

4 Conclusiones/ Conclusões

Los pacientes con cáncer en atención paliativa presentaron intervenciones en diferentes ámbitos, destacando la adaptación del domicilio, apoyo económico, facilitación de terapia y trámites funerarios. En más de la mitad de los pacientes se colaboró con entidades privadas para la provisión de atención social.



SEHOP
SOCIEDAD ESPAÑOLA
DE HEMATOLOGÍA Y ONCOLOGÍA
PEDIÁTRICAS

SOCIEDADE DE HEMATOLOGIA
E ONCOLOGIA PEDIATRICA
DA SOCIEDADE PORTUGUESA DE PEDIATRIA

1^{ER} CONGRESO IBÉRICO DE HEMATOLOGIA Y ONCOLOGIA PEDIATRICAS

virtual

21 Y 23 SEPT 2021
28 Y 30 SEPT

C0093 TRATAMIENTO CON ELTROMBOPAG EN LA TROMBOCITOPENIA INMUNE PEDIÁTRICA: EXPERIENCIA EN UN HOSPITAL DE TERCER NIVEL

Carlos Ortí Sanchis (Hospital universitari i politècnic la Fe, , Valencia , España), Elena Martínez Chillarón, Bienvenida Argilés Aparicio (Hematología Pediátrica, Hospital la Fe de Valencia, España), Sara Izquierdo Sebastián (Hematología Pediátrica, Hospital la Fe de Valencia, España), Emilio Monteagudo Montesinos (Jefe de Servicio pediatría, Hospital la Fe de Valencia, España)

1 Objetivos/ Metas

La trombocitopenia inmune (PTI) se caracteriza por un aumento de la destrucción plaquetaria y una producción insuficiente de estas. Aunque suele ser un proceso autolimitado, hasta el 20% de los pacientes pediátricos desarrollan PTI crónica. Los corticoides y las inmunoglobulinas intravenosas son el tratamiento de primera línea. Si estos fallan, las opciones terapéuticas incluyen fármacos inmunosupresores, la esplenectomía y los análogos de la trombopoyetina (ar-TPO): eltrombopag y romiplostin.

Eltrombopag se ha demostrado efectivo y seguro en pacientes pediátricos con trombocitopenia inmune crónica y/o refractaria a tratamientos de primera línea. El objetivo de nuestro estudio es describir la experiencia de uso de eltrombopag en nuestra unidad.

2 Material y Métodos/ Material e métodos

Estudio descriptivo retrospectivo de los pacientes con PTI que han recibido tratamiento con eltrombopag desde enero de 2017 hasta enero de 2021 en nuestro centro. Los datos demográficos, clínicos y de laboratorio se recogieron de la historia electrónica de los pacientes.

3 Resultados

Se incluyeron 16 pacientes, 8 mujeres y 8 varones, con una edad media de 10.5 años (1-18 años). La mediana de tiempo transcurrido desde el diagnóstico de PTI hasta el inicio de Eltrombopag fue de 12 meses, incluyéndose 3 casos de PTI agudas refractarias al tratamiento de primera línea. Dos pacientes habían recibido previamente otros tratamientos de 2ª línea. La dosis inicial mediana de Eltrombopag fue 50mg (12.5-75mg); 14 pacientes precisaron ajuste de dosis: El recuento plaquetar medio al inicio del tratamiento fue de 17.813/mm³, 94.500/mm³ al mes, 87.643/mm³ a los 3 meses y 129.04/mm³ a los 6 meses. Mantuvieron el tratamiento de primera línea durante los primeros meses 13 pacientes. Presentaron efectos adversos relacionados con el tratamiento 3 pacientes: 1 alopecia, 1 hipertransaminasemia, 1 insomnio. En los 2 primeros casos se interrumpió el tratamiento, revirtiendo la clínica. Se suspendió el tratamiento en 3 pacientes : 2 por mejoría con respuesta mantenida (a los 393 y 467 días) y en otro por mala cumplimentación del tratamiento. De los 14 pacientes que mantenían el tratamiento a los 3 y 6 meses, en 9 y 12 casos, respectivamente, se consiguió respuesta completa (>50.000 plaquetas).

4 Conclusiones/ Conclusões

Eltrombopag ha sido una alternativa efectiva en el manejo de la PTI crónica y/o refractaria a tratamientos de primera línea en niños en nuestro centro, teniendo además una buena tolerancia y adherencia con pocos efectos secundarios.



SEHOP
SOCIEDAD ESPAÑOLA
DE HEMATOLOGÍA Y ONCOLOGÍA
PEDIÁTRICAS

1^{ER} CONGRESO IBÉRICO DE HEMATOLOGÍA Y ONCOLOGÍA PEDIÁTRICAS

virtual

21 Y 23 SEPT 2021
28 Y 30 SEPT

C0094 CUIDADOS AL FINAL DE LA VIDA EN PACIENTES CON NEOPLASIAS HEMATOLÓGICAS: DESCRIPCIÓN Y COMPARACIÓN BASADA EN LA PROVISIÓN DE CUIDADOS PALIATIVOS

Íñigo de Noriega Echevarría (Pediatria, HU Puerta de Hierro-Majadahonda, Majadahonda, España), Ricardo Martino Alba (Unidad de Atención Integral Paliativa Pediátrica, Hospital Infantil Universitario del Niño Jesús, Madrid, España), Raquel Jiménez García (Servicio de Pediatría, Hospital Infantil Universitario del Niño Jesús, Madrid, España), Álvaro Lassaletta Atienza (Servicio de Hematología y Oncología Pediátrica, Hospital Infantil Universitario del Niño Jesús), Luis Madero López (Servicio de Hematología y Oncología Pediátrica, Hospital Infantil Universitario del Niño Jesús), **Blanca Herrero Velasco**

1 Objetivos/ Metas

Los pacientes con neoplasias hematológicas representan uno de los grupos con más barreras en el acceso a cuidados paliativos pediátricos (CPP). En nuestro entorno, no existen estudios que analicen las diferencias existentes en la atención al final de la vida en estos pacientes en función de la provisión de CPP.

2 Material y Métodos/ Material e métodos

Estudio retrospectivo de análisis de historias clínicas de pacientes fallecidos por neoplasias hematológicas en 10 años (01/01/2010-31/12/2019), en un hospital pediátrico terciario con Unidad de cuidados paliativos pediátricos (UCPP). Se recogieron datos de las características epidemiológicas, tratamiento previo y atención en el último mes de vida, comparándolos en función de haber recibido atención o no por la UCPP. Se utilizaron test clásicos de comparación de hipótesis (nivel de significación $p < 0.05$).

3 Resultados

De 88 pacientes con neoplasias hematológicas, 19 (21.6%) recibieron atención por la UCPP. Los pacientes que recibieron CPP contaban con una media de edad significativamente menor al diagnóstico (5.0 años vs 7.4) y al fallecimiento (7.3 vs 10.6), sin diferencias en cuanto a sexo, número de líneas de tratamiento, administración a lo largo de su enfermedad de quimioterapia, radioterapia, cirugía o trasplante de progenitores hematopoyéticos, y sí en el número de ingresos en cuidados intensivos pediátricos (CIP), mayor en los pacientes sin CPP.

En cuanto al último mes de vida de los pacientes, los pacientes con CPP recibieron quimioterapia en mayor proporción (84.2% vs 58.0%), mientras que los pacientes sin CPP recibieron con mayor frecuencia procedimientos invasivos (73.9% vs 5.3%) y sedación paliativa (63.8% vs 15.8%). Presentaron además una tendencia no significativa a ser intervenidos quirúrgicamente con mayor frecuencia (13.4% vs 0.0%; $p=0.10$) y a recibir transfusiones de hematíes (94.2% vs 79.0%; $p=0.06$) y de plaquetas (73.7% vs 91.3%; $p=0.06$). En el último mes de vida los pacientes atendidos por la UCPP pasaron significativamente menos días hospitalizados (media de 9.8 vs 25.5) y en la UCIP (media de 0.8 vs 10.7), así como menos días ingresados en la última semana (media 1.5 vs 6.7) y fallecieron en mayor proporción en domicilio (68.4% vs 0.0%).

4 Conclusiones/ Conclusões

Existen diferencias importantes en la atención al final de la vida entre los pacientes que recibieron CPP y los que no los recibieron, recibiendo estos tratamientos más agresivos y permaneciendo más tiempo en el hospital. Son necesarios más estudios que expliquen estas diferencias y analicen factores previos en su trayectoria o en la existencia de barreras en el acceso a CPP.



SEHOP
SOCIEDAD ESPAÑOLA
DE HEMATOLOGÍA Y ONCOLOGÍA
PEDIÁTRICAS

1^{ER} CONGRESO IBÉRICO DE HEMATOLOGÍA Y ONCOLOGÍA PEDIÁTRICAS

virtual

21 Y 23 SEPT 2021
28 Y 30 SEPT

C0095 DESESCALADA Y RETIRADA DE ANÁLOGOS DE LA TROMBOPOYETINA EN PACIENTES PEDIÁTRICOS CON PTI CRÓNICA. ¿ES POSIBLE?

María Solsona Gadea, Rubén Berrueco (1. Servicio de Hematología Pediátrica. Hospital Sant Joan de Déu. Hospital Sant Joan de Déu Barcelona, Passeig Sant Joan de Déu 2, 08950 Esplugues de Llobregat, Spain. 2. Grupo trabajo de la PTI de la Sociedad Española de Hematología y Oncología Pediátrica), Elena Sebastián (Servicio de Hematología. Hospital Universitario Niño Jesús. Madrid. Grupo trabajo de la PTI de la Sociedad Española de Hematología y Oncología Pediátricas (SEHOP).), Áurea Cervera, (Servicio de Pediatría. Hospital Universitario de Móstoles. Grupo trabajo de la PTI de la Sociedad Española de Hematología y Oncología Pediátricas (SEHOP).), Ana Sastre (Servicio de Hematología y Oncología Pediátricas. Hospital La Paz. Madrid. Grupo trabajo de la PTI de la Sociedad Española de Hematología y Oncología Pediátricas (SEHOP).), Emilio Monteagudo (Servicio de Pediatría. Hospital Universitario La Fe. Valencia. Grupo trabajo de la PTI de la Sociedad Española de Hematología y Oncología Pediátricas (SEHOP).), Itziar Astigarraga (Servicio de Pediatría. Hospital Universitario Cruces. IIS Biocruces Bizkaia. UPV/EHU. Barakaldo. Grupo trabajo de la PTI de la Sociedad Española de Hematología y Oncología Pediátricas (SEHOP).), Bienvenida Argilés (Servicio de Pediatría. Hospital Universitario La Fe. Valencia. Grupo trabajo de la PTI de la Sociedad Española de Hematología y Oncología Pediátricas (SEHOP).)

1 Objetivos/ Metas

Los análogos de la trombopoyetina (ar-TPO) están autorizados en la trombopenia inmune crónica (PTIc) en la edad pediátrica. Recientemente, se han descrito series en pacientes adultos que muestran que hasta un 30-50% de pacientes con PTIc en tratamiento con ar-TPO pueden presentar una respuesta mantenida de plaquetas tras su retirada. Sin embargo, hay pocos datos en pacientes pediátricos; se desconoce si esto también ocurre, así como cuál es la mejor estrategia de retirada del tratamiento.

2 Material y Métodos/ Material e métodos

Estudio retrospectivo observacional multicéntrico (enero 2009-enero 2021) en pacientes pediátricos (0-18 años) con diagnóstico de PTIc en los que se había retirado el tratamiento con ar-TPO tras haber presentado una respuesta mantenida. Análisis de datos mediante soporte estadístico SPSS. Estudio aprobado por el comité de ética del centro (EOM-07-21).

3 Resultados

Se analizaron 9 pacientes con PTIc, en los que se pudo retirar el tratamiento con ar-TPO. Seis eran niñas; media de edad al diagnóstico: 8.6 años [2-13.6]. La indicación principal para el uso de ar-TPO fue presentar recuentos plaquetares < 10.000/mmcc. Todos ellos habían recibido tratamientos de primera línea con respuestas transitorias. En el momento del inicio de la retirada, los pacientes habían recibido tratamiento con ar-TPO durante una media de 14,3 meses [1-42]. Recibían: romiplostim (n=4) y eltrombopag (n=5). Romiplostim: dosis media en el momento de la retirada: 4,5 mcg/kg/semana [1-10], tiempo medio de retirada: 20,8 semanas [10-34]. Eltrombopag: dosis media en el momento de la retirada: 35 mg/kg/día [25-50], tiempo medio de retirada: 44,7 semanas [11,2-84,3]. Durante la desescalada del tratamiento, ningún paciente precisó aumentos de dosis significativos y ninguno presentó trombopenia grave durante el proceso. Un paciente recibió tratamiento concomitante con micofenolato. La cifra media de plaquetas tras la retirada fue de 143.000/mmcc [59.000-238.000]. Tres pacientes recayeron tras una media de 19 semanas tras la retirada del tratamiento. De ellos, dos necesitaron reiniciar tratamiento.

4 Conclusiones/ Conclusões

Esta serie demuestra que se puede plantear la desescalada y retirada del tratamiento con ar-TPO en pacientes pediátricos con PTIc que hayan presentado una respuesta completa mantenida. Nuestra experiencia sugiere que la retirada tiene que ser progresiva y lenta. No obstante, es necesario realizar un consenso entre expertos de cara a establecer la mejor estrategia, además de estudios para identificar factores predictivos de éxito en la retirada de ar-TPO y evaluar la evolución a largo plazo.



SEHOP
SOCIEDAD ESPAÑOLA
DE HEMATOLOGÍA Y ONCOLOGÍA
PEDIÁTRICAS

1^{ER} CONGRESO IBÉRICO DE HEMATOLOGIA Y ONCOLOGIA PEDIATRICAS

virtual

21 Y 23 SEPT 2021
28 Y 30 SEPT

C0096 CUIDADOS AL FINAL DE LA VIDA EN PACIENTES CON TUMORES SÓLIDOS: COMPARACIÓN BASADA EN LA PROVISIÓN DE CUIDADOS PALIATIVOS

Íñigo de Noriega Echevarría (Pediatria, HU Puerta de Hierro-Majadahonda, Majadahonda, España), Ricardo Martino Alba (Unidad de Atención Integral Paliativa Pediátrica, Hospital Infantil Universitario del Niño Jesús, Madrid, España), Álvaro Lassaletta Atienza (Servicio de Hematología y Oncología Pediátrica, Hospital Infantil Universitario del Niño Jesús, Madrid, España), Raquel Jiménez García (Servicio de Pediatría, Hospital Infantil Universitario del Niño Jesús, Madrid, España), Luis Madero López (Servicio de Hematología y Oncología Pediátrica, Hospital Infantil Universitario del Niño Jesús Madrid, España), Blanca Herrero Velasco

1 Objetivos/ Metas

Los pacientes con tumores sólidos extracraneales, representan un grupo heterogéneo de pacientes, en algunos casos con mortalidad significativa. En nuestro entorno, no existen estudios que analicen las diferencias existentes en la atención al final de la vida en estos pacientes en función de la provisión de cuidados paliativos pediátricos (CPP).

2 Material y Métodos/ Material e métodos

Estudio retrospectivo de análisis de historias clínicas de pacientes fallecidos por tumores sólidos en 10 años (01/01/2010-31/12/2019), en un hospital pediátrico terciario con Unidad de Cuidados Paliativos Pediátricos (UCPP). Se recogieron datos de las características epidemiológicas, tratamiento previo y atención en el último mes de vida, comparándolos en función de haber recibido atención o no por la UCPP. Se utilizaron test clásicos de comparación de hipótesis (nivel de significación $p < 0.05$).

3 Resultados

De 62 pacientes con tumores sólidos, 44 (71.0%) recibieron atención por la UCPP. Entre ambos grupos no se hallaron diferencias en cuanto a género, edad al diagnóstico o al fallecimiento, número de líneas de tratamiento, administración a lo largo de su enfermedad de quimioterapia, radioterapia o cirugía e ingresos previos en cuidados intensivos pediátricos (CIP), y sí en el número de recaídas (mayor en el grupo con CPP con media 1.8 vs 1.5).

En cuanto al último mes de vida de los pacientes, no se observaron diferencias en la proporción de pacientes que recibieron quimioterapia o radioterapia, mientras que los pacientes que no recibieron CPP fueron intervenidos quirúrgicamente en una proporción significativamente mayor (22.2% vs 2.3%) y recibieron transfusiones tanto de hematíes (61.1% vs 31.8%) como de plaquetas (55.6% vs 27.3%) en mayor proporción. También recibieron en mayor proporción procedimientos invasivos (27.8% vs 6.8%) y sedación paliativa (55.6% vs 25.0%). En el último mes de vida los pacientes atendidos por la UCPP pasaron significativamente menos días hospitalizados (media de 4.5 vs 22.4) y en la UCIP (media de 0.7 vs 6.6), así como días ingresados en la última semana (media 1.6 vs 5.7) y fallecieron en mayor proporción en domicilio (72.7% vs 0%).

4 Conclusiones/ Conclusões

Existen diferencias en la atención al final de la vida entre los pacientes con tumores sólidos que recibieron CPP y los que no los recibieron, recibiendo estos últimos tratamientos más agresivos en el último mes de vida y permaneciendo más tiempo en el hospital. Son necesarios más estudios que expliquen estas diferencias y analicen factores previos en su trayectoria o en la existencia de barreras en el acceso a CPP.



SEHOP
SOCIEDAD ESPAÑOLA
DE HEMATOLOGÍA Y ONCOLOGÍA
PEDIÁTRICAS

SOCIEDADE DE HEMATOLOGIA
E ONCOLOGIA PEDIATRICA
DA SOCIEDADE PORTUGUESA DE PEDIATRIA

1^{ER} CONGRESO IBÉRICO DE HEMATOLOGIA Y ONCOLOGIA PEDIATRICAS

virtual

21 Y 23 SEPT 2021
28 Y 30 SEPT

C0097 CUIDADOS AL FINAL DE LA VIDA EN PACIENTES CON TUMORES DEL SNC: DESCRIPCIÓN Y COMPARACIÓN BASADA EN LA PROVISIÓN DE CUIDADOS PALIATIVOS

Íñigo de Noriega Echevarría (Pediatria, HU Puerta de Hierro-Majadahonda, Majadahonda, España), Álvaro Lassaletta Atienza (Servicio de Hematología y Oncología Pediátrica, Hospital infantil Universitario del Niño Jesús, Madrid, España), Ricardo Martino Alba (Unidad de Atención Integral Paliativa Pediátrica, Hospital Infantil Universitario del Niño Jesús, Madrid, España), Raquel Jiménez García (Servicio de Pediatría, Hospital Infantil Universitario del Niño Jesús, Madrid, España), Luis Madero López (Servicio de Hematología y Oncología Pediátrica, Hospital infantil Universitario del Niño Jesús Madrid, España), **Blanca Herrero Velasco**

1 Objetivos/ Metas

Los tumores del SNC en pediatría presentan una mortalidad estimada del 30%. Los cuidados paliativos pediátricos (CPP) buscan mejorar la calidad de vida del paciente y su familia incluyendo la etapa de final de vida. Sin embargo, existen pocos datos sobre el impacto de la creación de unidades de CPP en España.

2 Material y Métodos/ Material e métodos

Estudio retrospectivo de análisis de historia clínicas de pacientes fallecidos por tumores del SNC entre Enero-2010 y Diciembre-2019 en un hospital pediátrico terciario en la que se basa la Unidad de Cuidados Paliativos Pediátricos (UCPP) regional. Se recogieron datos de las características epidemiológicas, tratamiento oncológico previo y atención en el último mes de vida y se compararon en función de haber recibido atención específica o no por la UCPP. Se utilizaron test clásicos de comparación de hipótesis (paramétricos o no-paramétricos cuando no fueran aplicables) con un nivel de significación de $p < 0.05$.

3 Resultados

De 48 pacientes con tumores del SNC, 36 (75.0%) recibieron atención por la UCPP. No se hallaron diferencias significativas en sexo, edad al diagnóstico o al fallecimiento, líneas de tratamiento, presencia de enfermedad al diagnóstico o en la evolución o número de ingresos en UCIP. En cuanto al último mes de vida, no se hallaron diferencias en el empleo de quimioterapia, radioterapia, intervenciones quirúrgicas (si bien las tres se presentaron con mayor frecuencia en los pacientes sin atención por la UCPP) o empleo de hemoderivados, ni en el de intervenciones invasivas o de sedación paliativa. Sin embargo, los pacientes atendidos por la UCPP pasaron significativamente menos días en el hospital en el último mes (mediana: 2 IQ: 0-9.5 vs 9.5 IQ: 5.5-21.5) y última semana (mediana 0.5 IQ: 0-7 vs 7 IQ: 5-7) y fallecieron en mayor proporción en su domicilio (55.6% vs 0%).

4 Conclusiones/ Conclusões

Hasta un 75% de los pacientes con tumores del SNC de nuestro centro recibieron atención por la UCPP. No se encontraron diferencias en las características clínicas u oncológicas estudiadas que pudieran explicar porque unos pacientes fueron derivados a la UCPP y otros no. En cuanto a la atención en el último mes, si bien se observó una tendencia a un mayor empleo de tratamientos no atendidos por la UCPP en tratamientos oncológicos y medidas invasivas, estos no fueron significativos. Los pacientes que recibieron atención por la UCPP pasaron menos tiempo en el hospital en el último mes y semana de vida y fallecieron más frecuentemente en su domicilio.



SEHOP
SOCIEDAD ESPAÑOLA
DE HEMATOLOGÍA Y ONCOLOGÍA
PEDIÁTRICAS

SOCIEDADE DE HEMATOLOGIA
E ONCOLOGIA PEDIATRICA
DA SOCIEDADE PORTUGUESA DE PEDIATRIA

1^{ER} CONGRESSO IBÉRICO DE HEMATOLOGIA Y E ONCOLOGIA PEDIATRICAS

virtual

21 Y 23 SET
28 Y 30 SET 2021

C0099 CITOPENIAS AUTOIMUNES EM CRIANÇAS COM IMUNODEFICIÊNCIAS PRIMÁRIAS

Ricardo Craveiro Costa, Ana Rita Gomes (Serviço de Hematologia Clínica, Hospital Pediátrico Centro Hospitalar e Universitário de Coimbra (CHUC), Coimbra), Rita Marchante Pita (Departamento de Pediatria, Hospital Pediátrico, Centro Hospitalar e Universitário de Coimbra (CHUC), Coimbra, Portugal), Emília Faria (Consulta de Imunodeficiências Primárias, Hospital Pediátrico, Centro Hospitalar e Universitário de Coimbra (CHUC), Coimbra, Portugal), Sónia Lemos (Consulta de Imunodeficiências Primárias, Hospital Pediátrico Centro Hospitalar e Universitário de Coimbra (CHUC), Coimbra), Joana Azevedo (Serviço de Hematologia Clínica, Hospital Pediátrico, Centro Hospitalar e Universitário de Coimbra (CHUC), Coimbra, Portugal)

1 Objetivos/ Metas

As imunodeficiências Primárias (IDP) manifestam-se clinicamente não só pela maior predisposição a infeções como também por maior probabilidade de ocorrência de fenómenos de desregulação imune, entre os quais entidades autoimunes. As citopenias autoimunes (CAI) são um grupo heterogéneo de entidades que se caracteriza pela destruição imunomediada de pelo menos uma linha celular hematopoética, e constituem uma manifestação autoimune frequente nos doentes com IDP, sobretudo nos doentes com Síndrome linfoproliferativa autoimune (ALPS), Imunodeficiência comum variável (IDCV) ou Síndrome Wiskott-Aldrich (WAS). Neste trabalho pretende-se caracterizar casos de doentes pediátricos com IDP que desenvolveram CAI no seu curso clínico.

2 Material y Métodos/ Material e métodos

Análise retrospectiva dos processos eletrónicos de 3 doentes seguidos num hospital pediátrico terciário, com diagnóstico inicial de IDP, não ALPS, IDCV ou WAS, que se complicou ao longo da sua evolução por CAI clinicamente significativa. Analisaram-se dados demográficos, características clínicas e laboratoriais da CAI, seu tratamento, evolução e complicações ocorridas.

3 Resultados

Incluíram-se neste estudo 3 crianças/adolescentes que desenvolveram Síndrome de Evans (1) ou Trombocitopenia Imune (PTI) (2) tendo como diagnósticos de IDP de base: Síndrome de deleção 22q11.2 (del22q), Síndrome de hipoplasia-cartilagem-cabelo (CHH) e Doença Granulomatosa Crónica (DGC) ligada ao X. Os 3 doentes (2M, 1F) desenvolveram CAI na 2.ª década de vida. Nos doentes com del22q e Síndrome CHH, a CAI foi a primeira manifestação autoimune documentada. Os 3 doentes foram tratados com glucocorticoides e imunoglobulina endovenosa (IVIg) em 1.ª linha, 2 deles foram propostos para esquema de 2.ª linha por ausência de resposta sustentada, o 3.º ainda permanece com pouco tempo de evolução.

4 Conclusiones/ Conclusões

O desenvolvimento de fenómenos autoimunes tem vindo a ser crescentemente reconhecido como associado a IDP, e pode mesmo corresponder à sua primeira manifestação clínica. As CAI nestes doentes são frequentemente consideradas mais resistentes ao tratamento habitual, que inclui frequentemente recurso a fármacos imunossuppressores. A raridade destas entidades, aliada a um perfil imune heterogéneo, assim como maior tendência para refratariedade aos tratamentos habituais destas patologias, constituem um importante desafio clínico.



SEHOP
SOCIEDAD ESPAÑOLA
DE HEMATOLOGÍA Y ONCOLOGÍA
PEDIÁTRICAS

1^{ER} CONGRESO IBÉRICO DE HEMATOLOGÍA Y ONCOLOGÍA PEDIÁTRICAS

virtual

21 Y 23 SEPT 2021
28 Y 30 SEPT

C0100 NUEVO ABORDAJE PARA EL SCREENING DE ALTERACIONES DE CRLF2 EN LA LEUCEMIA LINFOBLÁSTICA AGUDA

José Vicente Gil Ortí, Olaya Jiménez López (Análisis clínicos, IIS La Fe, Valencia, España), Gayane Avetisyan (Hematología, IIS La Fe, Valencia, España), Esperanza Such Taboada (Hematología, Hospital La Fe, Valencia, España), Carolina Fuentes Socorro (Pediatria, Hospital La Fe, Valencia, España), José María Fernández Navarro (Pediatria, Hospital La Fe, Valencia, España), Eva Barragán González* (Análisis clínicos, Hospital La Fe, Valencia, España), Marta Llop García* (Análisis clínicos, Hospital La Fe, Valencia, España)

1 Objetivos/ Metas

La hiperexpresión de *CRLF2* explica el 50% de los casos de leucemia linfoblástica aguda (LLA) *Ph-like*. Su identificación es clínicamente relevante, ya que se asocia a una menor supervivencia global y confirma el diagnóstico de LLA *Ph-like*. Puede ocurrir por deleciones en *PAR1* (*P2RY8-CRLF2*), translocaciones en *@IGH*, mutaciones puntuales en *CRLF2*, siendo la más frecuente *p.F232C*, y mutaciones activantes de la vía *JAK-STAT* (*JAK2 p.R683G*). Nuestro objetivo es desarrollar un método rápido para detectar las alteraciones de *CRLF2*.

2 Material y Métodos/ Material e métodos

Se diseñó una técnica de RT-qPCR capaz de detectar, simultáneamente, la expresión de *CRLF2* (hiperexpresión = mediana + 2 desviaciones estándar) y el reordenamiento *P2RY8-CRLF2* utilizando Sybr Green, así como las mutaciones *CRLF2 p.F232C* y *JAK2 p.R683G* mediante *melting* de alta resolución. Se validó analizando 38 LLAs pediátricas previamente caracterizados mediante FISH para *CRLF2*. Las muestras con patrones de *melting* alterados fueron secuenciadas mediante Sanger.

3 Resultados

El método mostró una concordancia del 100% con los métodos ortogonales.

La hiperexpresión de *CRLF2* se detectó en 8/38 (21,05%) pacientes. Dos (25%) portaban el reordenamiento *P2RY8-CRLF2*, 4 (50%) *IGH-CRLF2* (confirmado mediante FISH, no genera gen de fusión), 1 (2,63%) la mutación *CRLF2 p.F232C* y 1 (2,63%) la mutación *JAK2 p.R683G* (Tabla1). Éste último presentó una recaída temprana, en la que perdió la mutación *JAK2 p.R683G* pero adquirió la traslocación *IGH-CRLF2* y una nueva variante de *JAK2(p.R683S)*, duplicando los niveles de expresión de *CRLF2* respecto al diagnóstico.

Resultado FISH Expresión relativa de *CRLF2** Mutaciones

IGH-CRLF2	388,02	Negativo
P2RY8-CRLF2	225,97	Negativo
ND	190,02	Negativo
IGH-CRLF2	410,15	Negativo
P2RY8-CRLF2	139,1	Negativo
ND	114,56	JAK2-p.R683G
IGH-CRLF2	250,73	JAK2-p.R683GS
IGH-CRLF2	200,85	CRLF2-p.F232C
ND	0,02	Negativo
ND	2,60	Negativo
ND	0,27	Negativo
ND	0,06	Negativo
ND	0,27	Negativo
ND	0,92	Negativo
ND	0,74	Negativo
ND	0,39	Negativo
ND	0,08	Negativo
ND	0,78	Negativo



SEHOP
SOCIEDAD ESPAÑOLA
DE HEMATOLOGÍA Y ONCOLOGÍA
PEDIÁTRICAS

SOCIEDADE DE HEMATOLOGIA
E ONCOLOGIA PEDIATRICA
DA SOCIEDADE PORTUGUESA DE PEDIATRIA

1^{ER} CONGRESO IBÉRICO DE HEMATOLOGIA Y E ONCOLOGIA PEDIATRICAS

virtual

21 Y 23 SEPT 2021
28 Y 30 SEPT

ND	0,03	Negativo
ND	0,34	Negativo
ND	1,17	Negativo
ND	0,21	Negativo
ND	0,08	Negativo
ND	1,49	Negativo
ND	0,84	Negativo
ND	3,18	Negativo
ND	2,87	Negativo
ND	0,16	Negativo
ND	1,83	Negativo
ND	0,48	Negativo
ND	0,05	Negativo
ND	0,33	Negativo
ND	3,46	Negativo
ND	2,50	Negativo
ND	0,28	Negativo
ND	1,01	Negativo
ND	0,41	Negativo
ND	0,18	Negativo

4 Conclusiones/ Conclusões

El método resultó ser rápido, sensible y específico identificando la hiperexpresión de *CRLF2* así como los mecanismos causantes, por lo que puede ser una herramienta útil en el laboratorio clínico.



SEHOP
SOCIEDAD ESPAÑOLA
DE HEMATOLOGÍA Y ONCOLOGÍA
PEDIÁTRICAS

1^{ER} CONGRESO IBÉRICO DE HEMATOLOGIA Y ONCOLOGIA PEDIATRICAS

virtual

21 Y 23 SEPT 2021
28 Y 30 SEPT

C0101 BLOODY SUNDAY

Carmen Larramendi, Ángel Valls (Pediatria Atención Primaria, Centro de Salud de Nazaret, Valencia, España), Elena Carceller (Unidad de Oncohematología Pediátrica, Hospital Clínico Universitario, Valencia, España), Cristina Nova (Unidad de Oncohematología Pediátrica, Hospital Clínico Universitario, Valencia, España), Francisco Raga (Departamento de Obstetricia y Ginecología, Universidad de Valencia, Valencia, España), Jaime Verdú (Unidad de Oncohematología Pediátrica, Hospital Clínico Universitario, Valencia, España)

1 Objetivos/ Metas

Describir un caso clínico

2 Material y Métodos/ Material e métodos

Caso clínico

3 Resultados

Adolescente mujer de 12 años con episodios recurrentes de hemolacria y otorragia. Antecedentes personales de epistaxis recurrentes atribuidos a rinitis alérgica, con estudio otorrinolaringológico (ORL) normal. Intervenida a los tres años de amigdalectomía sin complicaciones hemorrágicas. Menarquia a los 11 años, con menstruaciones regulares, dolorosas, de corta duración. Estrés emocional por *bullying* y desestructuración familiar. No antecedentes familiares de trastornos hemorrágicos. La paciente presentaba episodios de hemolacria y otorragia de corta duración, autolimitados, habitualmente acompañados de cefalea en los últimos dos meses. Relación temporal de la clínica con menstruaciones dismenorréicas, situaciones de estrés social y desestructuración del núcleo familiar. Frecuentemente los sangrados se presentaban en domingo motivando absentismo escolar frecuente. No asociación traumática ni con infecciones. Exploración clínica normal sin malformaciones vasculares aparentes ni signos hemorrágicos cutáneos o mucosos. Hipertensión arterial descartada en varias ocasiones, también durante los episodios. Hemograma, frotis sanguíneo, bioquímica y estudio básico de hemostasia normales. Se descartó enfermedad de von Willebrand y de trombopatías (panel customizado *Next generation sequencing* para agonistas plaquetares y defectos granulares). El estudio citomorfológico del sangrado ocular confirmó la existencia de sangre periférica sin otras células acompañantes. Hormonas tiroideas y sexuales normales. La valoración oftalmológica y ORL descartaron puntos de sangrado visibles, procesos infecciosos, inflamatorios o malformativos locales. Se desestimó biopsia de tejido conjuntival y ótico. Ecografía abdominal, ginecológica y RMN orbitario-cerebral normales. Tras descartar origen orgánico y debido a la coincidencia de los episodios hemorrágicos con la menstruación el diagnóstico de exclusión fue de *menstruación vicaria*. Se instauró tratamiento empírico secuencial con diferentes anticonceptivos orales sin respuesta evidente y con cefalea como efecto adverso limitante que llevó a suspender el tratamiento. En base a la fisiopatología de la hematohidrosis se administró propranolol empírico con mejoría transitoria de los síntomas. Estos empeoraron tras nuevos acontecimientos estresantes en el ámbito escolar y familiar. Se instauró tratamiento con lorazepam y psicoterapia con mejoría progresiva en la periodicidad, duración y magnitud hemorrágica. La paciente continúa presentando episodios hemorrágicos esporádicos de menor intensidad y el tratamiento psiquiátrico se ha intensificado por un trastorno de ansiedad generalizada reactivo.

4 Conclusiones/ Conclusões

La hematohidrosis es un trastorno infrecuente. Su relación con estrés psicológico ha sido previamente descrito. La alteración fisiopatológica subyacente se atribuye a una intensa vasoconstricción cutánea en situaciones de estrés, seguida de una dilatación excesiva compensadora que lleva a la rotura vascular con salida hemática a través de glándulas exocrinas adyacentes.



SEHOP
SOCIEDAD ESPAÑOLA
DE HEMATOLOGÍA Y ONCOLOGÍA
PEDIÁTRICAS

1^{ER} CONGRESO IBÉRICO DE HEMATOLOGIA Y ONCOLOGIA PEDIATRICAS

virtual

21 Y 23 SEPT
28 Y 30 SEPT 2021

C0102 CALIDAD DE VIDA Y HÁBITOS DE SALUD EN LOS SUPERVIVIENTES DE CÁNCER INFANTIL

M^a Teresa Tormo Alcañiz, Julia Balaguer Guill (Oncología Infantil, Hospital La Fe, Valencia, España.), Irene Cervera Morales (Psicóloga, Aspanion, Valencia, España.), Cristina Nova Lozano (Oncología Infantil, Hospital Clínico, Valencia.), Jaime Verdú Amorós (Oncología Infantil, Hospital Clínico, Valencia.), Adela Cañete Nieto (Oncología Infantil, Hospital La Fe, Valencia, España.)

1 Objetivos/ Metas

Conocer el estado y los hábitos de salud de los supervivientes de cáncer infantil tratados en nuestra unidad de Oncohematología Infantil.

2 Material y Métodos/ Material e métodos

Los datos han sido obtenidos mediante el cuestionario de St. Jude del estudio "Long Term Follow Up", que se ha pasado a formato electrónico tras ser adaptado a nuestra población de pacientes > 14 años que fueron diagnosticados de cáncer infantil y que se encuentran más de 5 años fuera de tratamiento.

3 Resultados

: 82 pacientes, de los cuales 45 eran mujeres, con una media de edad de 22 años, han cumplimentado completamente el cuestionario y refieren las siguientes patologías actuales: cojera=6, pérdidas auditivas=3, pérdida de visión de un ojo=5, problemas respiratorios=11, digestivos = 13 y endocrinos= 13.

Respecto a los hábitos de salud: sólo 9 de ellos fuman en la actualidad, 66 realizan ejercicio físico habitual con una media de 2,5 días a la semana y 58 han tomado alcohol durante el último año. 31 pacientes refieren algún grado de dolor en las últimas cuatro semanas.

En cuanto a visitas a centros médicos: 79 acudieron a alguna visita durante el último año, con una mediana de 3,5 visitas por paciente/año, y 21 precisan de seguimiento psicológico.

Preguntándoles por su grado de preocupación en una escala desde para nada preocupado hasta muy preocupado respecto a los siguientes ítems: salud futura, capacidad para tener hijos y posibilidad de desarrollar un segundo cáncer refirieron algún grado de preocupación 72, 64 y 70 pacientes respectivamente. Sólo 8 pacientes refirieron su salud como regular, siendo en todos los demás de buena a excelente y 26 pacientes sienten algún grado de discapacidad en su salud.

En los ítems nerviosismo o agitación interna, pensamientos acerca de acabar con su vida, sentimiento de soledad, tristeza, miedo o falta de interés por las cosas en los últimos 7 días presentaron algún grado de los mismos en 39,13,25,32,26 y 26 pacientes respectivamente.

4 Conclusiones/ Conclusões

Conforme va avanzando la medicina actual, vamos encontrándonos con una población mayor de supervivientes de cáncer infantil que requieren de un seguimiento y tratamiento tanto médico como psicológico especializado con un manejo interdisciplinar para poder resolver tanto sus dudas como problemas de forma específica



SEHOP
SOCIEDAD ESPAÑOLA
DE HEMATOLOGÍA Y ONCOLOGÍA
PEDIÁTRICAS

1^{ER} CONGRESO IBÉRICO DE HEMATOLOGIA Y ONCOLOGIA PEDIATRICAS

virtual

21 Y 23 SEPT 2021
28 Y 30 SEPT

C0104 ANALISIS DE LA INCIDENCIA DE HEMOGLOBINOPATIA EN NUESTRO MEDIO TRAS EL CRIBADO NEONATAL.

Carmen Sanchez Ramírez, María José Granados Prieto (Hospital Materno Infantil Torrecárdenas. Almería.), Cristina Jiménez Cobo (Hospital Materno Infantil Torrecárdenas. Almería.), Ana Bartolomé Muñoz (Hospital Materno Infantil Torrecárdenas. Almería.), Eduardo Rodríguez de la Cruz (Hospital Materno Infantil Torrecárdenas. Almería.), María Ángeles Vázquez López (Hospital Materno Infantil Torrecárdenas. Almería.), Francisco Lendinez Molinos (Hospital Materno Infantil Torrecárdenas. Almería)

1 Objetivos/ Metas

INTRODUCCIÓN

La drepanocitosis se engloba en un grupo de trastornos eritrocitarios hereditarios que provoca la producción anormal en la estructura de la hemoglobina. Se trata de una enfermedad crónica que puede provocar complicaciones sistémicas. En los últimos años se incluye su detección en la prueba del talón.

2 Material y Métodos/ Material e métodos

OBJETIVOS Y MÉTODOS

Describir los pacientes diagnosticados a partir del screening neonatal en nuestra provincia.

Estudio descriptivo retrospectivo de los pacientes diagnosticados de hemoglobinopatías o portadores sanos a través del screening neonatal desde diciembre de 2018.

3 Resultados

RESULTADOS

En octubre de 2020, iniciamos la consulta de hemoglobinopatías para cubrir la demanda asistencial debido al creciente número de casos y mejorar el control de los pacientes afectos de hemoglobinopatías severas.

Desde la implantación del screening en 2018, se han detectado 260 casos, diagnosticando un total de 74 pacientes de los cuales: 65 son portadores sanos de HbS, HbC y HbD, 3 hemoglobinopatías homocigotas SS, 1 hemoglobinopatía doble heterocigota SD, 3 hemoglobinopatía SC y 1 betatalasemia mayor.

En 32 (26.7%) de ellos, todos sospecha de portadores sanos, fue imposible contactar o que acudieran a la cita a pesar de conseguir contacto. Destacar la gran dificultad para el contacto y para que las familias entiendan la importancia de esta patología.

9 de los pacientes (0.08%) se trasladaron a otras provincias antes de poder contactar con ellos.

A todos los portadores sanos se les explica la patología, sus posibles implicaciones en el futuro y se da consejo genético, entregándoles la hoja de recomendaciones de la SEHOP.

De los pacientes seguidos en nuestra unidad, se ha conseguido mejor control de su patología optimizando el tratamiento, precisando menos ingresos y disminuyendo el número de complicaciones.

Quedan pendientes por confirmar 110 pacientes, lo cual indica la necesidad de aumentar los recursos dedicados a esta patología, por el gran volumen de pacientes con esta afección en nuestra provincia.

4 Conclusiones/ Conclusões

CONCLUSIONES

El screening neonatal ha permitido diagnosticar portadores sanos para dar consejo genético en el futuro y pacientes con enfermedad lo que ha permitido iniciar el tratamiento de forma precoz y mejorar la calidad de vida de ellos.

Tenemos un gran decalaje en la llamada a los portadores sanos debido a la necesidad de mayor número de consultas específicas para estos pacientes, por ser una de las provincias con mayor incidencia de esta patología. Sin embargo, no existe decalaje en los pacientes enfermos.



SEHOP
SOCIEDAD ESPAÑOLA
DE HEMATOLOGÍA Y ONCOLOGÍA
PEDIÁTRICAS

1^{ER} CONGRESO IBÉRICO DE HEMATOLOGIA Y ONCOLOGIA PEDIATRICAS

virtual

21 Y 23 SEPT 2021
28 Y 30 SEPT

C0105 HIPERPLASIA NODULAR FOCAL EN PACIENTES EN SEGUIMIENTO POR NEUROBLASTOMA

Guïomar Gutiérrez Schiaffino, Marta Gómez Muñoz (Oncología Pediátrica. Hospital Regional Universitario. Málaga. Spain), Silvia Torrejón Almeida (Oncología Pediátrica. Hospital Regional Universitario. Málaga. Spain), Marta Cortés Hernández (Oncología Pediátrica. Hospital Regional Universitario. Málaga. Spain), Miguel Ángel Lendínez Ramírez (Oncología Pediátrica. Hospital Regional Universitario. Málaga. Spain), María Isabel Martínez León (Radiología pediátrica. Hospital Regional Universitario. Málaga. Spain), Laura García Hidalgo (Oncología Pediátrica. Hospital Regional Universitario. Málaga. Spain)

1 Objetivos/ Metas

El neuroblastoma (NB) es el tumor sólido extracraneal más frecuente en niños. Aunque la supervivencia ha mejorado, los supervivientes son susceptibles de presentar complicaciones, relacionadas con la enfermedad o tratamiento. Además del riesgo de segundas neoplasias malignas, hay un incremento de las benignas, destacando las lesiones hepáticas como hiperplasia nodular focal (HNF).

2 Material y Métodos/ Material e métodos

Estudio descriptivo retrospectivo en pacientes afectos NB en cualquier estadio, diagnosticados entre 2010-2020, con lesión compatible con HNF en nuestro centro. Se analizará las características clínicas, radiológicas, factores predisponentes, presentación y tratamiento.

3 Resultados

En los últimos 10 años se diagnosticaron en nuestro centro 53 NB, 22 alto riesgo y 28 bajo riesgo, registrándose 11 éxitus, siendo los demás seguidos en consulta. Durante el seguimiento, 5 pacientes se diagnostican de HNF, de los que 4/5 son mujeres, con edad media de 34 meses (4-97 meses). Al diagnóstico, 3 de ellos corresponden a estadio IV y 2 a estadio III, según el INSS. Ninguno presentó metástasis hepáticas. Recibieron tratamiento según protocolo HR.NBL1.7. SIOPEN o LINES, según estadio. La quimioterapia altas dosis con Busulfán y Melfalán se administró en 4/5 pacientes, de los cuales, 3/4 desarrollaron síndrome de obstrucción sinusoidal (SOS) y fueron tratados con defibrotide. Ninguno recibió radioterapia hepática. Durante el seguimiento, a excepción de 1, presentaron niveles elevados de ferritina, con niveles máximos 650-1410ng/ml (media 918,7).

El diagnóstico de las lesiones hepáticas fue un hallazgo casual por imagen (RM), presentaron un número variable de 1 a 11 (media 5). Son lesiones isointensa/hipointensa en T1 hiperintensa/isointensa en T2, con rápida captación de contraste cicatriz fibrosa central es el hallazgo característico, no presente en todos. Ninguno ha presentado alteraciones función hepática. Se indicó biopsia en 1/5 pacientes confirmandose el diagnóstico. La aparición de las lesiones se produjo con un seguimiento medio de 31,8 meses (9-54 meses). Actualmente, no se han registrado recaídas con media de seguimiento de 49,8 meses (28-86).

4 Conclusiones/ Conclusões

La HNF en nuestra serie presenta una prevalencia de 9,2%, alcanzando el 17% en alto riesgo. Se postula esta enfermedad como un factor de riesgo, por sí misma o por su tratamiento. Otros como el antecedente SOS y niveles elevados de ferritina durante el seguimiento, también parecen aumentar el riesgo. Defendemos que en ausencia de otros signos de recidiva y patrones de imagen típicos de la HNF en RM, realizar el seguimiento por imagen parece suficientemente seguro. El tamaño muestral es pequeño, siendo necesario realizar más estudios para comprobar estas conclusiones.



SEHOP
SOCIEDAD ESPAÑOLA
DE HEMATOLOGÍA Y ONCOLOGÍA
PEDIÁTRICAS

1^{ER} CONGRESO IBÉRICO DE HEMATOLOGÍA Y ONCOLOGÍA PEDIÁTRICAS

virtual

21 Y 23 SEPT 2021
28 Y 30 SEPT

C0106 DE LA CLÍNICA AL LABORATORIO: LEUCEMIA MIELOMONOCÍTICA JUVENIL CON MUTACIÓN NF1 Y CBL

José Ángel Raposo Puglia, Inmaculada Marchante Cepillo (Hematología, Hospital Universitario Puerta del Mar, Cádiz, España), Myriam Ley Martos (Pediatria, Hospital Universitario Puerta del Mar, Cádiz, España), Maria Paz Garrastazul Sánchez (Hematología, Hospital Universitario Puerta del Mar, Cádiz, España), Ana María Romero Montero (Pediatria, Hospital Universitario Puerta del Mar, Cádiz, España)

1 Objetivos/ Metas

La Leucemia mielomonocítica juvenil (LMMJ) es una entidad mieloproliferativa/mielodisplásica infrecuente. Se asocia a mutaciones somáticas y germinales que activan la vía de señalización RAS/MAPK confiriendo una hipersensibilidad de las células progenitoras hematopoyéticas al factor estimulante de colonias granulomonocitarias.

El trasplante alogénico es el único tratamiento curativo.

2 Material y Métodos/ Material e métodos

Varón de 9 meses. Origen marroquí. Calendario vacunal completo. Ingresó por vómitos con restos hemáticos, fiebre de 3 días de evolución y rechazo de las tomas.

Exploración: aplanamiento raiz nasal. Mancha café con leche abdominal. Sindactilia 2-3 dedos de ambos pies. Hepatoesplenomegalia. Fallo de medro.

Inicia estudio pediátrico de enfermedad por depósito (reactantes de fase aguda negativos). Tras valoración hematológica ampliamos pruebas complementarias.

3 Resultados

RNM Craneal: Hiperostosis frontoorbitaria y base craneal. Ecocardiograma: estenosis pulmonar e hipertrofia septal.

Hemograma: Hemoglobina 10.1 g/dl, VCM 83.6, Leucocitos 27.76 (Neutrófilos 10.24, Eosinófilos 0.19, Basófilos 0.10, Linfocitos 9.98, Monocitos 7.25), plaquetas $39 \times 10^3/uL$. Reticulocitos 3.42%.

Frotis Sangre periférica: monocitosis estimulada con frecuentes vacuolas, linfocitos activados. Policromasia y punteado basófilo.

Bioquímica: GOT 38 U/l. Albúmina 3.6 g/dl, Lactato 28.5 mg/dl. IST 13.5%, Fe sérico 40 ug/dL, Ferritina 10.4 ng/mL. Ácido metilmalónico 27 mmol/molm. Normalidad para demás parámetros incluidos cobre y ácidos grasos libres. Serología negativa.

Estudio de metabolopatías hereditarias:

- Excreción elevada en orina de ácido láctico, sialico, metilmalónico y 3-OH- propionico.

- Oligosacariduria generalizada. Se solicita análisis genético de enfermedades lisosomales mediante NGS: variante heterocigota tipo SNP en gen SLC2A2 (NM_000340.1); c.593C>T; p.Thr198Met en posición chr3:170724956

Biopsia ósea: Fibrosis reticulínica leve focal. Linfocitos aislados pequeños B en número ligeramente aumentado.

Aspirado medular: hiperplasia moderada de serie granulocítica y monocitaria sin rasgos displásicos ni exceso de blastos. Tinción de Perls sugestiva de ferropenia.

Inmunofenotipo: ligero descenso relativo mielóide de formas maduras a expensas de intermedias. Monocitos sin alteraciones.

Electroforesis de Hb: normalidad. HbA1 1.7%, HbF 4.7%

Secuenciación en sangre periférica: mutación NF1 c.7531G>C (exon 51), VAF: 49.40%, y mutación CBL VAF 77.14%.

Estudio materno: NF1: 46.60%, CALR: VAF 44.92% Concluyente de mutación NF1 de línea germinal.

Muestra paterna no disponible, ni realización de pérdida de heterocigosidad en CBL.

Citogenética en médula ósea normal.

Diagnóstico: LMMJ con mutación de NF1 (germinal) y CBL.

4 Conclusiones/ Conclusões



SEHOP
SOCIEDAD ESPAÑOLA
DE HEMATOLOGÍA Y ONCOLOGÍA
PEDIÁTRICAS

1^{ER} CONGRESO IBÉRICO DE HEMATOLOGIA Y E ONCOLOGIA PEDIATRICAS *virtual* 21 Y 23 SEPT 2021 28 Y 30 SEPT

La LMMJ debe ser contemplada ante la evidencia de hepatoesplenomegalia y hemorragia asociada a monocitosis.

El diagnóstico es complejo y se establece por criterios clínicos, hematológicos y genéticos-mutacionales.



SEHOP
SOCIEDAD ESPAÑOLA
DE HEMATOLOGÍA Y ONCOLOGÍA
PEDIÁTRICAS

1^{ER} CONGRESO IBÉRICO DE HEMATOLOGÍA Y ONCOLOGÍA PEDIÁTRICAS

virtual

21 Y 23 SEPT 2021
28 Y 30 SEPT

C0107 ANEMIA GRAVE AL NACIMIENTO: 5 AÑOS DE EXPERIENCIA EN UN HOSPITAL TERCIARIO

Patricia Repáraz Goñi (Unidad de Neonatología. Servicio de Pediatría. Hospital Universitario Cruces. Osakidetza. Barakaldo, Bizkaia. España), Elena Martínez Fernández (Unidad de Neonatología. Servicio de Pediatría. Hospital Universitario Cruces. Osakidetza. Barakaldo, Bizkaia. España), Paula González Urdiales, Rosa María Adán Pedroso (Unidad de Hematología y Oncología Pediátricas. Servicio de Pediatría, Hospital Universitario Cruces. IIS Biocruces Bizkaia, Barakaldo, Bizkaia. España), Ricardo López Almaraz (Unidad de Hematología y Oncología Pediátricas. Servicio de Pediatría, Hospital Universitario Cruces. IIS Biocruces Bizkaia, Barakaldo, Bizkaia. España), Itziar Astigarraga Aguirre (Unidad de Hematología y Oncología Pediátricas. Servicio de Pediatría, Hospital Universitario Cruces. IIS Biocruces Bizkaia, Barakaldo, Bizkaia. España), M^a Cruz López Herrera (Unidad de Neonatología. Servicio de Pediatría. Hospital Universitario Cruces. Osakidetza. Barakaldo, Bizkaia. España), Lourdes Román Echevarría1 (Unidad de Neonatología. Servicio de Pediatría. Hospital Universitario Cruces. Osakidetza. Barakaldo, Bizkaia. España)

1 Objetivos/ Metas

Describir las características de los pacientes con anemia neonatal grave que precisan ingreso en la unidad neonatal al nacimiento.

2 Material y Métodos/ Material e métodos

Estudio retrospectivo de ingresos hospitalarios de pacientes con anemia neonatal grave (hemoglobina <7g/dl o clínica grave de anemia que precise transfusión inmediata) mediante la revisión de la historia clínica desde enero de 2016 hasta abril de 2021 en un hospital terciario. Se excluyeron casos de anemia fetal con tratamiento prenatal y valores normales de hemoglobina al nacimiento y las formas de presentación posterior al parto.

3 Resultados

Se registraron 16 pacientes con anemia grave al nacimiento. Todas las gestaciones eran únicas y la edad gestacional mediana fue de 38 semanas [33-41] y el peso natal de 2.970g [1860 – 4010]. La hemoglobina mediana al ingreso fue de 7,3 g/dl [2,6-10,8] y todos los pacientes recibieron transfusión urgente en el momento del parto o inmediatamente al ingreso. Todos los recién nacidos precisaron ingreso en la unidad de cuidados intensivos neonatales (UCIN). Trece pacientes precisaron soporte respiratorio, con ventilación mecánica invasiva (5 pacientes), ventilación no invasiva (5 pacientes) y oxigenoterapia de alto flujo (3 pacientes). Nueve pacientes precisaron soporte hemodinámico con inotropos. Tres pacientes recibieron hipotermia activa por asociar encefalopatía neonatal. La etiología más frecuente fue la transfusión fetomaterna (8 casos) confirmada por niveles de hemoglobina fetal en sangre materna; seguida de las hemorragias debido a desprendimiento de placenta (2), inserción velamentosa de cordón (2) y placenta previa (1). Se enviaron siete placentas a estudio anatomopatológico, encontrando un hematoma placentario como causa de la transfusión fetomaterna en una de ellas. No se evidenció en ningún caso coriocarcinoma. No se registraron casos de anemia hemolítica, aplásica o infecciones durante este periodo como causa de anemia fetal grave al nacimiento. En 4 casos no se pudo establecer el diagnóstico etiológico tras realizar el estudio completo de anemia neonatal.

4 Conclusiones/ Conclusões

La anemia neonatal grave de presentación al nacimiento precisa en la mayoría de casos de terapia transfusional urgente además de soporte respiratorio y hemodinámico. La etiología más frecuente en nuestra muestra fue la transfusión fetomaterna seguido del desprendimiento de placenta, placenta previa o problemas de cordón umbilical. El estudio anatomopatológico de la placenta es importante para establecer el diagnóstico si los datos obstétricos no son concluyentes. El diagnóstico y tratamiento precoz de los recién nacidos con anemia grave postparto es importante para evitar complicaciones neurológicas y compromiso orgánico con potencial riesgo vital.



SEHOP
SOCIEDAD ESPAÑOLA
DE HEMATOLOGÍA Y ONCOLOGÍA
PEDIÁTRICAS

SOCIEDADE DE HEMATOLOGIA
E ONCOLOGIA PEDIATRICA
DA SOCIEDADE PORTUGUESA DE PEDIATRIA

1^{ER} CONGRESO IBÉRICO DE HEMATOLOGIA Y ONCOLOGIA PEDIATRICAS

virtual

21 Y 23 SEPT 2021
28 Y 30 SEPT

C0108 IMPLEMENTACIÓN DE TERAPIA CAR-T EN UN HOSPITAL PEDIÁTRICO DE TERCER NIVEL.

Rocio Vila de Frutos, Ana Moral Larraz (Hospital Infantil Universitario Niño Jesús), Blanca Herrero Velasco (Hospital Infantil Universitario Niño Jesús), Inés Leoz Gordillo (Hospital Infantil Universitario Niño Jesús), Natalia Camarena Pavón (Hospital Infantil Universitario Niño Jesús), Verónica Cantarín Extremera (Hospital Infantil Universitario Niño Jesús), Montserrat Nieto Moro (Hospital Infantil Universitario Niño Jesús), Moro, Luis Madero López (Hospital Infantil Universitario Niño Jesús)

1 Objetivos/ Metas

La terapia de células T con receptores quiméricos de antígenos (CAR-T) es un tipo de inmunoterapia de reciente instauración en el tratamiento de pacientes pediátricos con leucemia linfoblástica aguda B (LLA-B) refractaria o en recaída. Aunque presenta altas tasas de remisión, no está exenta de riesgos. Las complicaciones más frecuentes son el síndrome de liberación de citoquinas (SLC) y la neurotoxicidad, ingresando en una unidad de cuidados intensivos pediátricos (UCIP) hasta el 30-50% de los pacientes que la reciben.

El objetivo de este estudio es describir las características, complicaciones y evolución de los pacientes sometidos a terapia CAR-T en un hospital pediátrico de tercer nivel.

2 Material y Métodos/ Material e métodos

Estudio descriptivo retrospectivo incluyendo los pacientes sometidos a terapia CAR-T entre el 1/06/2020 y el 31/05/2021. Se recogieron datos epidemiológicos y clínicos, siendo analizados mediante el programa SPSS v22.

3 Resultados

Durante este periodo 8 pacientes recibieron terapia CAR-T, con una mediana de edad de 8,7 años (RI: 1,25-20,8). Seis pacientes presentaban recaída medular de LLA-B, el 67% tras trasplante de progenitores hematopoyéticos (TPH), y dos refractariedad primaria.

El 100% recibió linfodeplección con fludarabina y ciclofosfamida. La enfermedad mínima residual media previa a la infusión fue del 27% (DE: 0,25), siendo esta mayor (36%, DE: 0,35) en el grupo con recaída post CAR-T.

Como complicaciones, seis pacientes desarrollaron SLC (75%) de los cuales tres fueron grado 4. Por su parte, cuatro pacientes desarrollaron neurotoxicidad (50%), dos de ellos grado 4.

Cinco pacientes ingresaron en UCIP (62%), requiriendo en tres casos soporte vasoactivo y ventilación mecánica invasiva, con hemodiafiltración asociada en dos de ellos. Respecto al tratamiento 5 pacientes recibieron corticoterapia, en uno de los casos megadosis de metilprednisolona en contexto de fracaso multiorgánico. Cuatro pacientes recibieron Tocilizumab y Siltuximab (uno por neurotoxicidad y tres por SLC) y en los dos casos más graves se añadió Anakinra.

Tras la infusión, se objetivaron tres recaídas con una media de aparición de 3 meses (DE: 2 meses). Se realizaron 2 TPH posteriores, uno por pérdida precoz del CAR-T y otro por recaída. Hubo dos éxitos, uno por enfermedad y otro por toxicidad inmediata. Actualmente cuatro pacientes se encuentran en remisión completa, uno con pancitopenia post CAR-T, en tratamiento con estimulantes de la hematopoyesis.

4 Conclusiones/ Conclusões

La terapia CAR-T presenta resultados prometedores como tratamiento curativo de la LLA-B. Sin embargo, es importante destacar la frecuencia y gravedad de las complicaciones asociadas que precisan un tratamiento intensivo, incluyendo el uso de fármacos biológicos.



SEHOP
SOCIEDAD ESPAÑOLA
DE HEMATOLOGÍA Y ONCOLOGÍA
PEDIÁTRICAS

1^{ER} CONGRESO IBÉRICO DE HEMATOLOGIA Y ONCOLOGIA PEDIATRICAS

virtual

21 Y 23 SEPT 2021
28 Y 30 SEPT

C0109 TROMBOCITOPENIA INMUNE EN PACIENTES MENORES DE 1 AÑO: EXPERIENCIA DE 12 AÑOS.

Elisa González Forster, Elena Sebastián Pérez (Hospital Universitario Niño Jesús. Madrid. España), María Solsona Gadea (Hospital Sant Joan de Déu. Hospital. Barcelona, España), Jesús González de Pablo (Hospital Universitario Niño Jesús. Madrid. España), Julián Sevilla Navarro (Hospital Universitario Niño Jesús. Madrid. España), Monserrat Meseguer Meda (Hospital Sant Joan de Déu, Barcelona España), Rubén Berrueco Moreno (Hospital Sant Joan de Déu, Barcelona España.)

1 Objetivos/ Metas

La trombopenia inmune (PTI) es la causa más frecuente de plaquetopenia adquirida en la edad pediátrica. Tiene un pico de incidencia entre los 2 y 4 años, pero en el lactante, es menos habitual y está peor caracterizada.

2 Material y Métodos/ Material e métodos

Estudio retrospectivo observacional en pacientes de 0-12 meses diagnosticados de PTI en dos hospitales españoles pediátricos de tercer nivel en un periodo de 12 años. Análisis de datos mediante soporte estadístico SPSS.

3 Resultados

Se incluyeron un total de 40 pacientes, 25 eran niños y la media de edad era de 8,1 meses (DS 2,8). La mediana de plaquetas al debut fue de 8000/uL [1000-94000]. Como desencadenantes: vacunación previa (n=18) con una media de 26,19 días desde la vacuna (DS 17,9), infección previa (n=18). Se comparó la incidencia de casos asociados a vacuna tras la intensificación vacunal del año 2016 sin encontrar diferencias significativas. Con respecto a la sintomatología, se describió sangrado cutáneo (n=29), sangrado cutáneo-mucoso (n=10) y un paciente presentó una hemorragia subaracnoidea en contexto de traumatismo craneo-encefálico. Un 72,5% de los pacientes recibió tratamiento: gammaglobulina intravenosa (IGIV) (n=27), corticoides (n=8), gammaglobulina anti-D (n=1). La mediana de tiempo hasta la resolución fue de 1.45 meses [0.07-49.67] con un tiempo medio de seguimiento de 28,18 meses [0.86-103]. De ellos, 32 pacientes presentaron una resolución en los primeros tres meses (15 de ellos en el primer mes). Un paciente presentó una evolución crónica y en tres se objetivaron nuevos episodios recurrentes (en dos de ellos se sospecha una inmunodeficiencia de base).

4 Conclusiones/ Conclusões

En menores de un año, la PTI postvacunal constituye una causa etiológica más frecuente de lo que se ha descrito previamente en series de PTI pediátrica, si bien nuestra serie no ha objetivado un aumento de casos tras la intensificación del calendario vacunal de los últimos años. A pesar de no presentar clínica hemorrágica relevante, un porcentaje elevado de pacientes reciben tratamiento, en desacuerdo con las recomendaciones de las últimas guías terapéuticas. En general, este subgrupo de pacientes presenta una buena evolución clínica y muy pocos pacientes evolucionan a la cronicidad. Se necesitan más estudios prospectivos para analizar este grupo de pacientes.



SEHOP
SOCIEDAD ESPAÑOLA
DE HEMATOLOGÍA Y ONCOLOGÍA
PEDIÁTRICAS

1^{ER} CONGRESO IBÉRICO DE HEMATOLOGIA Y ONCOLOGIA PEDIATRICAS

virtual

21 Y 23 SEPT 2021
28 Y 30 SEPT

C0110 USO DE GLUCARPIDASA (CARBOXYPEPTIDASA G2) EN UNA UNIDAD DE ONCOLOGÍA PEDIÁTRICA.

Rocío Vila de Frutos, Sara Vinagre Enríquez (Hospital Infantil Universitario Niño Jesús), Carlos González Pérez (Hospital Infantil Universitario Niño Jesús), Blanca Herrero Velasco (Hospital Infantil Universitario Niño Jesús), Ana Isabel Benito Bernal (Hospital Infantil Universitario Niño Jesús), Begoña Arce Abaitua (Hospital Infantil Universitario Niño Jesús), Luis Madero López (Hospital Infantil Universitario Niño Jesús)

1 Objetivos/ Metas

El metotrexato (MTX) es un análogo del ácido fólico empleado en el tratamiento de neoplasias como leucemia linfoblástica aguda (LLA) y osteosarcoma.

Su administración endovenosa requiere la monitorización de niveles y medidas de soporte para reducir su toxicidad. A pesar de su eficacia, existen casos que requieren administrar fármacos de rescate como la glucarpidasa (carboxypeptidasa G2), con un coste económico elevado. Indicada en pacientes con niveles tóxicos de metotrexato o disfunción renal, hidroliza el metotrexato en su metabolito inactivo, disminuyendo los niveles plasmáticos y reduciendo su toxicidad sistémica. Su efectividad es limitada en la neurotoxicidad, pudiendo ocasionar síntomas digestivos, rash e hipersensibilidad como efectos secundarios.

El objetivo de este estudio es evaluar el uso de glucarpidasa en una Unidad de Oncología Pediátrica.

2 Material y Métodos/ Material e métodos

Estudio descriptivo retrospectivo mediante la revisión de historias clínicas de pacientes que precisaron glucarpidasa entre el 1/05/2017 y el 31/05/2021. Se recogieron datos epidemiológicos y clínicos, siendo analizados mediante el programa SPSS v22.

3 Resultados

Se incluyeron nueve pacientes con una mediana de edad de 11,4 años (RI 4.3-16.9). El diagnóstico más frecuente fue LLA con seis pacientes, seguido de osteosarcoma (dos casos) y una leucemia Burkitt.

Seis niños habían recibido al menos un ciclo de MTX previo, dos de ellos con retraso en su eliminación.

En los pacientes con LLA, se administró glucarpidasa durante los bloques de consolidación en tres casos, dos durante los bloques de intensificación y otro tras la recaída. Tanto los pacientes con osteosarcoma como el paciente con leucemia Burkitt la requirieron en el segundo ciclo de MTX.

El 89% de los pacientes la recibió en las primeras 36h tras la infusión. La indicación más frecuente fue el deterioro de la función renal (89%), con un incremento medio de creatinina de 2,5 veces el nivel basal (DE:0,5). En el 88% de los casos coincidió con retraso en la eliminación de MTX y en el 25% con clínica digestiva. En un paciente la indicación fue neurotoxicidad, sin alteración en los niveles de MTX.

La toxicidad se resolvió en todos los pacientes, con una media de eliminación del MTX de 211 horas (DE: 65 horas), modificando el tratamiento en los siguientes ciclos en cuatro casos. Únicamente se detectó un efecto adverso leve.

4 Conclusiones/ Conclusões

La glucarpidasa es eficaz en el tratamiento de la toxicidad por metotrexato pero, dado su alto coste, es importante identificar bien sus indicaciones, siendo la LLA la patología de base más frecuente en la que se emplea.



SEHOP
SOCIEDAD ESPAÑOLA
DE HEMATOLOGÍA Y ONCOLOGÍA
PEDIÁTRICAS

1^{ER} CONGRESO IBÉRICO DE HEMATOLOGIA Y ONCOLOGIA PEDIATRICAS

virtual

21 Y 23 SEPT 2021
28 Y 30 SEPT

C0113 ACUPUNTURA ONCOLÓGICA PEDIÁTRICA: UN TRATAMIENTO COMPLEMENTARIO FACTIBLE Y SEGURO. EXPERIENCIA DE UN CENTRO DE REFERENCIA

Esther Martínez García, Andrés Morales La Madrid (Área oncología pediátrica. Hospital Sant Joan de Déu, Barcelona Barcelona, España)

1 Objetivos/ Metas

Presentar datos de factibilidad y seguridad de la acupuntura oncológica, así como mostrar modelos de atención en centros de referencia internacionales y, en particular, en la Unidad de Oncología Pediátrica Integrativa (UOPI) del Hospital Sant Joan de Déu (Barcelona).

2 Material y Métodos/ Material e métodos

Revisión de la literatura sobre la factibilidad, seguridad, y eficacia de la acupuntura oncológica, así como sus indicaciones más frecuentes. Análisis de los motivos más frecuentes de uso de la acupuntura oncológica pediátrica en un centro de referencia en España.

3 Resultados

Centros oncológicos pediátricos internacionales de referencia ofrecen acupuntura oncológica con una emergente actividad asistencial e investigadora. Más de 350 publicaciones de grupos de guías de práctica clínica y grupos de expertos, incluidas declaraciones de salud pública realizadas por agencias gubernamentales e internacionales recomiendan el uso de la acupuntura para 61 síntomas secundarios a la enfermedad como a los tratamientos oncológicos habituales, muchos de los cuales tienen evidencia positiva de efectividad. En septiembre de 2019 se crea la Unidad de Oncología Pediátrica Integrativa (UOPI) cuyos pilares son la nutrición y la acupuntura oncológica. Se han valorado 310 pacientes y realizado 1210 tratamientos de acupuntura en paciente en tratamiento activo y superviviente. Los motivos de consulta más frecuentes son: trastornos de la motilidad gastrointestinal (41,1%) como náuseas, vómitos, diarrea y estreñimiento; dolor (37,6%) tumoral, neuropático, de la cicatriz, funcional, osteomuscular, cefalea y abdominalgia, y trastornos del ánimo (12,7%) como astenia psicofísica, ansiedad, insomnio o terrores nocturnos. Un 8,6% de los pacientes se han derivado para tratamiento de la inapetencia, reacciones alérgicas o sofocos.

4 Conclusiones/ Conclusões

La acupuntura es un procedimiento médico cada vez más utilizado como tratamiento complementario en oncología. Entre sus ventajas, destaca que no aumenta la polifarmacia, presenta un gran margen de seguridad en manos expertas y no interacciona con el tratamiento habitual del paciente. La acupuntura oncológica intenta disminuir toxicidades o efectos secundarios del tratamiento convencional, así como mejorar el bienestar y la calidad de vida de los niños y adolescentes con cáncer del desarrollo. La UOPI cubre una demanda médica creciente de las familias, poniendo al paciente en el centro, ofreciendo tratamientos complementarios, como la acupuntura, incluidos e integrados en el abordaje global del paciente.



SEHOP
SOCIEDAD ESPAÑOLA
DE HEMATOLOGÍA Y ONCOLOGÍA
PEDIÁTRICAS

SOCIEDADE DE HEMATOLOGIA
E ONCOLOGIA PEDIATRICA
DA SOCIEDADE PORTUGUESA DE PEDIATRIA

1^{ER} CONGRESO IBÉRICO DE HEMATOLOGIA Y ONCOLOGIA PEDIATRICAS

virtual

21 Y 23 SEPT 2021
28 Y 30 SEPT

C0114 EVOLUCIÓN DE LAS NEUTROPENIAS AUTOINMUNES PRIMARIAS EN UNA UNIDAD DE ONCOHEMATOLOGÍA PEDIÁTRICA: NUESTRA EXPERIENCIA.

Ana Belén Caparrós Nieto (Servicio de Pediatría, Unidad de Oncohematología Infantil, Hospital Universitario de Canarias, Tenerife, España), Cristina Martínez Faci (Servicio de Pediatría, Unidad de Oncohematología Infantil, Hospital Universitario de Canarias, Tenerife, España), Macarena González Cruz (Servicio de Pediatría, Unidad de Oncohematología Infantil, Hospital Universitario de Canarias, Tenerife, España), María Beatriz Garnier Rodríguez (Servicio de Pediatría, Hospital Universitario de Canarias, Tenerife, España), **Marta Del Pino García**, Raquel Ternero Asenjo (Servicio de Pediatría, Hospital Universitario de Canarias, Tenerife, España), Lucía Navarro Main (Servicio de Pediatría, Hospital Universitario de Canarias, Tenerife, España)

1 Objetivos/ Metas

Conocer las características clínicas y epidemiológicas de los pacientes afectos de neutropenia autoinmune primaria, y detectar posibles factores diferenciadores relacionados con su evolución.

2 Material y Métodos/ Material e métodos

Análisis descriptivo y retrospectivo de las características clínicas y epidemiológicas de pacientes en edad pediátrica diagnosticados de neutropenia autoinmune primaria en el Hospital Universitario de Canarias, desde enero de 2009 hasta diciembre de 2020.

3 Resultados

Se ha diagnosticado un total de 19 pacientes, entre ellos 10 varones (52,6%) y 9 mujeres (47,3 %). La media de edad al diagnóstico fue de 15 meses (rango de 1 mes a 4 años). El conteo absoluto de neutrófilos (CAN) al debut tuvo una media de 473/mm³, (intervalo de 70 a 1000/mm³).

En todos se realizó el diagnóstico mediante la detección de anticuerpos anti-neutrófilo.

Las neutropenias se clasificaron en: graves (57,8%, n= 11), moderadas (31,5%, n= 6) y leves (10,5%, n= 2), siendo la mayoría de ellas graves al diagnóstico. La duración de la neutropenia fue transitoria (< 6 meses) en 1 paciente, frente a 16 pacientes (84,2%) en los que la evolución fue crónica (> 6 meses). Dos pacientes son de reciente diagnóstico, por lo que no se han incluido en esta clasificación.

El hallazgo analítico fue casual en la mayoría de los pacientes (73,6%, n= 14), mientras que 5 pacientes (26,3%) se encontraban ingresados por un proceso infeccioso en ese momento.

El 42% (n= 8) de pacientes precisó profilaxis antibiótica, correspondiéndose estos casos a los que presentaron cuadros infecciosos leves de repetición. Dos pacientes (10,5%) presentaron infecciones severas durante su seguimiento requiriendo la administración de G-CSF.

El CAN en la última valoración analítica fue de 1500/mm³ de media (intervalo de 300 a 2800/mm³). La resolución de la enfermedad tuvo lugar al cabo de 32 meses de media (de 21 a 48 meses). Actualmente, en 9 pacientes no se ha resuelto la neutropenia (2 de ellos con diagnóstico en el año 2013 y 2015 respectivamente).

4 Conclusiones/ Conclusões

La neutropenia autoinmune es una de las causas más frecuentes de neutropenia crónica del lactante con una evolución favorable hacia la resolución espontánea en plazos variables y precisando, en la mayoría de casos, tratamiento conservador no específico.



SEHOP
SOCIEDAD ESPAÑOLA
DE HEMATOLOGÍA Y ONCOLOGÍA
PEDIÁTRICAS

1^{ER} CONGRESO IBÉRICO DE HEMATOLOGIA Y ONCOLOGIA PEDIATRICAS

virtual

21 Y 23 SEPT 2021
28 Y 30 SEPT

C0115 LEUCEMIA AGUDA LINFOBLÁSTICA REFRACTARIA EN NIÑO CON SÍNDROME DE DOWN. TRATAMIENTO DE RESCATE CON MIDOSTAURINA

María Belén Moreno Risco, María Dolores De la Maya Retamar (Servicio de Hematología, Complejo Hospitalario Universitario de Badajoz, Badajoz), Celia Crespo Núñez (Servicio de Hematología, Complejo Hospitalario Universitario de Badajoz, Badajoz), Carla Andrea Guillén Sarmiento (Servicio de Hematología, Complejo Hospitalario Universitario de Badajoz, Badajoz), Elena Cobos González (Servicio de Hematología, Complejo Hospitalario Universitario de Badajoz, Badajoz), Daniela Varea Calero (Servicio de Hematología, Complejo Hospitalario Universitario de Badajoz, Badajoz), Jorge Groiss Buiza (Servicio de Hematología, Complejo Hospitalario Universitario de Badajoz, Badajoz), José Manuel Vagace Valero (Servicio de Hematología, Complejo Hospitalario Universitario de Badajoz, Badajoz)

1 Objetivos/ Metas

La LAL Ph-like es frecuente en el Síndrome de Down (SD) y confiere un mal pronóstico. Presentamos un caso refractario que respondió a midostaurina.

2 Material y Métodos/ Material e métodos

Un niño de 7 años con SD y antecedentes de Síndrome de West y posterior Síndrome de Lennox-Gastaut, sin capacidad de comunicación ni deambulación debido a encefalopatía epiléptica farmacoresistente, debutó en julio del 2020 con hematomas y palidez. Presentaba hepatoesplenomegalia confirmada ecográficamente y una radiografía de tórax normal.

En los estudios complementarios destacaban los siguientes datos: Hemograma: Hb 5,5 g/dl, leucocitosis 35.920 /mmc y plaquetas 9000 /mmc. Frotis de SP: 54% de blastos LCR normal y aspirado de médula ósea (MO) con > 90% de blastos L1 (FAB). El inmunofenotipo era consistente con LAL de precursores B común CD20+ con expresión aberrante de CD66c, CD13 y CD33, cariotipo hiperdiploide (53XY +21) en sólo 5 cromosomas, mediante FISH se descartan reordenamientos E2A/PBX1, BCR/ABL1, TEL/AML1 y MLL=KMT2A, aunque sólo se observa una señal MLL.

Diagnosticado de LAL de precursores B se inició tratamiento según las recomendaciones LAL/SEHOP-PETHEMA para SD Riesgo Intermedio. No se obtuvo respuesta a corticoides en el día +7 pasando a alto riesgo y la MO en el día +15 presentaba un 46% de blastos. En ese momento se solicitó estudio NGS y se asoció Rituximab sin respuesta (47% de blastos en el día +36) Dada la situación neurológica del niño se descartaron terapias como los CAR-T o el blinatumomab y tampoco se consideró el Inotuzumab.

3 Resultados

En el estudio NGS se detectó una delección de IKAROS y una mutación de FLT3 c.2516A>G p.Asp839Gly, hallazgos compatibles con LAL Ph-Like. Iniciamos la fase Ib asociando un inhibidor de FLT-3 (midostaurina a 50 mg/12 h) obteniéndose la remisión completa al final de esta fase (blastos 1,8%). El tratamiento fue bien tolerado excepto por vómitos que obligaron a bajar la dosis a 25 mg/12 h. En la actualidad, un año después, el niño recibe mantenimiento + midostaurina permaneciendo en remisión completa (EMR 0,012%).

4 Conclusiones/ Conclusões

La mutación FLT3 se ha asociado a casos de LAL con reordenamiento KMT2A y expresión de marcadores mieloides. Nuestro paciente, aunque no presentaba este reordenamiento, si expresaba marcadores mieloides y una sola señal KMT2A. La terapia con midostaurina ha permitido controlar la enfermedad con escasa toxicidad. La medicina personalizada con fármacos diana permiten reducir la dosis de quimioterapia y constituyen una buena opción para mejorar la supervivencia de los niños con LAL y SD.



SEHOP
SOCIEDAD ESPAÑOLA
DE HEMATOLOGÍA Y ONCOLOGÍA
PEDIÁTRICAS

SOCIEDADE DE HEMATOLOGIA
E ONCOLOGIA PEDIATRICA
DA SOCIEDADE PORTUGUESA DE PEDIATRIA

1^{ER} CONGRESO IBÉRICO DE HEMATOLOGIA Y ONCOLOGIA PEDIATRICAS

virtual

21 Y 23 SEPT 2021
28 Y 30 SEPT

C0117 LLA-T PEDIÁTRICA CON REORDENAMIENTO TLX3, T(5;14)

Ana Gómez García, Ana Castillo Robleda (Hospital Universitario Niño Jesús), Lorea Abad Acha (Hospital Universitario Niño Jesús), Elena García Sánchez (Hospital Universitario Niño Jesús), Almudena Galán (Hospital Universitario Niño Jesús), Manuel Ramirez Orellana (Hospital Universitario Niño Jesús)

1 Objetivos/ Metas

En el diagnóstico biológico integrado, especialmente para las neoplasias hematológicas, el análisis completo de todas las aberraciones citogenéticas requiere una combinación de técnicas, como el cariotipo, FISH y PCR. Estos enfoques clásicos podrían ser complementados por imágenes del genoma de alta resolución, mapeo óptico del genoma (OGM).

El 50-70% de los pacientes con LLA-T presentan alteraciones cromosómicas detectadas por citogenética convencional, FISH o PCR. El valor pronóstico de éstas es controvertido. TLX3 se encuentra reordenado en un 15% y sobreexpresado en el 60% de las LLA-T pediátricas. La mayoría de traslocaciones cromosómicas observadas en las LLA-T a menudo producen la activación transcripcional de factores de transcripción de oncogenes. La translocación críptica t(5;14)(q35;q32) está presente en aproximadamente el 20% de las LLA infantiles, las cuales presentan células con cariotipo normal. La consecuencia de la translocación es la expresión ectópica del gen HOX11L2 (TLX3), localizado en 5q35, y normalmente no expresado en LLA sin reordenamiento 5q. Esta translocación cromosómica se cree que produce un control anormal del gen TLX3 por parte de CTPI2, localizado en 14q32, como consecuencia del reordenamiento cromosómico. La sobreexpresión de TLX3 en LLA-T se asocia a la presencia de reordenamientos genómicos y diversos estudios sugieren que t(5;14)(q35;q32) se asocia a un pronóstico adverso.

Objetivos: Identificar nuevas alteraciones citogenéticas relacionadas con la LLA-T pediátrica no detectadas previamente por metodologías actuales.

2 Material y Métodos/ Material e métodos

La médula ósea fue estudiada por citometría de flujo con diagnóstico de LLA con inmunofenotipo T intermedia con expresión de marcador mielóide CD33, cariotipo convencional (46,XY), FISH (reordenamiento TLX3 positivo) y PCR (SIL/TAL1 del(1p32) negativa) y se analizó por mapeo óptico del genoma (OGM) con la plataforma Bionano Saphyr de Bionano Genomics. Las aberraciones cromosómicas fueron determinadas por Bionano Genomics Rare variant pipeline (RVP) especializado en la detección de variantes somáticas.

3 Resultados

Se describe una nueva variante estructural no detectada por los otros métodos de diagnóstico actuales, en este caso con cariotipo normal, OGM descubrió una traslocación submicroscópica críptica clínicamente relevante cuyo reordenamiento fue detectado por FISH aunque no se pudo identificar el "partner". El mapeo óptico del genoma (OGM) detectó la t(5,14)(q34.1,q32.2) 5q34.1:TLX3 (RANBP17), 14q32.2:BCL11B(CTPI2).

4 Conclusiones/ Conclusões

El análisis de reordenamientos cromosómicos por OGM emerge como una poderosa herramienta en laboratorios citogenéticos para mejorar el diagnóstico de rutina de la leucemia aguda pediátrica.



SEHOP
SOCIEDAD ESPAÑOLA
DE HEMATOLOGÍA Y ONCOLOGÍA
PEDIÁTRICAS

1^{ER} CONGRESO IBÉRICO DE HEMATOLOGIA Y ONCOLOGIA PEDIATRICAS

virtual

21 Y 23 SEPT 2021
28 Y 30 SEPT

C0120 IDENTIFICACIÓN DE ANTÍGENOS DIANA POTENCIALES PARA EL DESARROLLO DE UNA TERAPIA CAR T EN LEUCEMIA MIELOMONOCÍTICA JUVENIL

Nerea Matamala Zamarro, Beatriz Ruz Caracuel (Grupo de Investigación Traslacional en Oncología Pediátrica, Trasplante de Progenitores Hematopoyéticos y Terapia Celular. Instituto de Investigación Hospital Universitario La Paz (IdiPAZ). Madrid España), Adela Escudero López (Grupo de Investigación Traslacional en Oncología Pediátrica, Trasplante de Progenitores Hematopoyéticos y Terapia Celular. Instituto de Investigación Hospital Universitario La Paz (IdiPAZ). Madrid España), Alfonso Navarro Zapata (Grupo de Investigación Traslacional en Oncología Pediátrica, Trasplante de Progenitores Hematopoyéticos y Terapia Celular. Instituto de Investigación Hospital Universitario La Paz (IdiPAZ). Madrid España), Alicia Pernas Sánchez (Grupo de Investigación Traslacional en Oncología Pediátrica, Trasplante de Progenitores Hematopoyéticos y Terapia Celular. Instituto de Investigación Hospital Universitario La Paz (IdiPAZ). Madrid España), Víctor Galán Gómez (Grupo de Investigación Traslacional en Oncología Pediátrica, Trasplante de Progenitores Hematopoyéticos y Terapia Celular. Instituto de Investigación Hospital Universitario La Paz (IdiPAZ). Madrid España), Antonio Pérez Martínez (Grupo de Investigación Traslacional en Oncología Pediátrica, Trasplante de Progenitores Hematopoyéticos y Terapia Celular. Instituto de Investigación Hospital Universitario La Paz (IdiPAZ). Madrid España)

1 Objetivos/ Metas

La leucemia mielomonocítica juvenil (LMMJ) es una entidad poco frecuente y con una elevada morbimortalidad, cuya única opción curativa es el trasplante de progenitores hematopoyéticos. Dado que la terapia con células CAR T CD19 ha obtenido buenos resultados en pacientes con leucemia linfoblástica aguda, el desarrollo de una terapia CAR T en LMMJ es de gran interés. El objetivo de este estudio es utilizar herramientas *in silico* para identificar potenciales antígenos de superficie celular asociados a tumor que puedan ser usados como dianas CAR en LMMJ.

2 Material y Métodos/ Material e métodos

Dada la importancia de las células madre leucémicas en el desarrollo de la LMMJ, hemos obtenido datos de RNAseq de células madre hematopoyéticas (CMH) de 6 pacientes de LMMJ y 5 controles a través de la base de datos Gene Expression Omnibus (serie GSE111709). A continuación, hemos realizado un análisis de expresión diferencial con edgeR usando como umbral un FDR (False Discovery Rate) < 0.05. Distintas herramientas bioinformáticas, como The *in silico* Human Surfaceome, The Human Protein Atlas and the Human Proteome Map, han sido utilizadas para seleccionar aquellas proteínas de superficie celular que no se encuentran altamente expresadas en tejidos sanos. Además, hemos usado The Database for Annotation, Visualization and Integrated Discovery (DAVID) para analizar la asociación de estos genes con Gene Ontology terms.

3 Resultados

Hemos identificado 1.013 genes diferencialmente expresados en las CMH de pacientes y controles, estando 749 de ellos sobreexpresados en los pacientes de LMMJ. De estos 749 genes, 31 codifican proteínas de superficie celular. Este grupo de genes está significativamente enriquecido en genes relacionados con la respuesta inmune, la regulación de la respuesta inmune y la respuesta inflamatoria. Además, muchos de estos genes han sido previamente relacionados con leucemia mieloide aguda y con leucemogénesis. Con el objetivo de identificar antígenos específicos, hemos comprobado la expresión de estos 31 genes en tejidos sanos utilizando herramientas *in silico*, obteniendo 19 genes con media de expresión baja o no detectada en 44 tejidos humanos sanos.

4 Conclusiones/ Conclusões

Las proteínas codificadas por los 19 genes identificados en este estudio son potenciales candidatos para dirigir una terapia CAR T en LMMJ. Esta terapia sería de gran beneficio para los pacientes con este tipo de leucemia grave y con opciones de tratamiento limitadas.



SEHOP
SOCIEDAD ESPAÑOLA
DE HEMATOLOGÍA Y ONCOLOGÍA
PEDIÁTRICAS

1^{ER} CONGRESO IBÉRICO DE HEMATOLOGÍA Y ONCOLOGÍA PEDIÁTRICAS

virtual

21 Y 23 SEPT 2021
28 Y 30 SEPT

C0121 ENCUESTA SOBRE LA ATENCIÓN A ADOLESCENTES CON CÁNCER A ONCÓLOGOS Y HEMATÓLOGOS DE LA SEHOP

MARTA CORTES HERNANDEZ, Guiomar Gutierrez Schiaffino (Unidad de Oncología Pediátrica. Hospital Materno Infantil, Hospital Regional Universitario de Malaga), Miguel Angel Lendínez Ramirez (Unidad de Oncología Pediátrica. Hospital Materno Infantil, Hospital Regional Universitario de Malaga), Laura Garcia Hidalgo (Unidad de Oncología Pediátrica. Hospital Materno Infantil, Hospital Regional Universitario de Malaga), Silvia Torrejon Almeida (Unidad de Oncología Pediátrica. Hospital Materno Infantil, Hospital Regional Universitario de Malaga)

1 Objetivos/ Metas

En la última década, España ha trabajado para mejorar la atención al adolescente con cáncer. Desde la creación en 2011 del Comité de Adolescentes de la Sociedad Española de Onco-Hematología Pediátrica (SEHOP), se ha mejorado la calidad asistencial a este grupo de pacientes favoreciendo una atención más individualizada. El objetivo principal es conocer el estado actual en la atención al adolescente con cáncer en España.

2 Material y Métodos/ Material e métodos

Se ha realizado una encuesta, enviada vía email a las unidades de Onco-hematología pediátrica españolas. El objetivo principal es conocer el estado actual en la atención al adolescente con cáncer en España.

3 Resultados

Un total de 24 Unidades respondieron a la encuesta (60%). Un 31% (14) de encuestados cuentan con una Unidad Específica del Adolescente, disponiendo en más de la mitad de los casos de un emplazamiento físico para ésta. La mayoría de Unidades (71%) han sido puestas en marcha en los últimos 2-5 años. La mayor parte (76%) son lideradas por especialistas pediátricos (Oncología y Hematología pediátricas) y en el 24% se trabaja en colaboración con especialistas de adultos (Oncología Médica y Hematología). Un 87% de encuestados piensa que el modelo colaborativo entre especialistas pediátricos y de adultos es el idóneo. En cuanto al soporte psicológico de los adolescentes, un 62,8% (27) respondió disponer de psicólogos contratados por fundaciones, un 9,3% (4) respondieron no disponer de psicooncólogo específico, y 8 encuestados (18,6%) respondió que disponen de ambas opciones (Psicólogos de Fundaciones y hospitalarios). Sólo un 9,3% respondió disponer de atención psicológica hospitalaria exclusiva para el adolescente. La mayoría de los encuestados (53%, 23) dispone en su centro de técnicas de preservación de fertilidad (preservación de espermatozoides y corteza ovárica/ovocitos) un 25,6% (11) tiene en su centro posibilidad de preservación de espermatozoides, pero no de corteza/ovocitos y en el 20,9% restante, no se dispone de opción de preservación de fertilidad para adolescentes.

4 Conclusiones/ Conclusões

En los últimos diez años, en España se han aunado esfuerzos por mejorar la atención del adolescente con cáncer, creándose un total de 4 Unidades Físicas en la Comunidad de Madrid y encontrándose en fase de desarrollo varias Unidades en el resto de España. La mayoría de los encuestados creen necesario el tratamiento de estos pacientes en Unidades específicas. Es preciso un modelo colaborativo con oncólogos médicos y hematólogos, debiendo estos pacientes recibir tratamiento por parte de equipos multidisciplinares experimentados. El apoyo psicosocial y las técnicas de preservación de fertilidad son clave en estas Unidades.



SEHOP
SOCIEDAD ESPAÑOLA
DE HEMATOLOGÍA Y ONCOLOGÍA
PEDIÁTRICAS

1^{ER} CONGRESO IBÉRICO DE HEMATOLOGÍA Y ONCOLOGÍA PEDIÁTRICAS

virtual

21 Y 23 SEPT 2021
28 Y 30 SEPT

C0122 DETECCIÓN DE RECAÍDA AL DIAGNÓSTICO DE LEUCEMIA LINFOBLÁSTICA AGUDA PEDIÁTRICA CON TÉCNICAS DE ANÁLISIS DE DATOS

María Rosa Durán, Álvaro Martínez Rubio (Departamento de Matemática, Universidad de Cádiz, Puerto Real, España), Juan Luis Fernández Martínez (Departamento de Matemática, Universidad de Oviedo, Oviedo, España), Teresa Caballero Velázquez (Servicio de Hematología, Hospital Virgen del Rocío, Sevilla, España), Águeda Molinos Quintana (Servicio de Hematología, Hospital Virgen del Rocío, Sevilla, España), Juan Francisco Rodríguez Gutiérrez (Servicio de Hematología, Hospital de Jerez, Jerez, España), Cristina Blázquez Goñi (Servicio de Hematología, Hospital Virgen del Rocío, Sevilla, España), Salvador Chulián García (Departamento de Matemática, Universidad de Cádiz, Puerto Real, España)

1 Objetivos/ Metas

La Leucemia Linfoblástica Aguda (LLA) es el cáncer más frecuente en la infancia. Los tratamientos actuales consiguen curar al 80% de estos niños, aunque todavía la recaída de la LLA supone la quinta neoplasia más frecuente en la edad pediátrica. El objetivo es el desarrollo y validación de un algoritmo clasificador con capacidad pronóstica de recaída en pacientes con LLA pediátrica tras el tratamiento, a partir de inteligencia artificial y biomarcadores.

2 Material y Métodos/ Material e métodos

Se usaron datos de citometría de flujo de 56 pacientes y se basó el análisis en dos conceptos: La intensidad y rango de expresión de marcadores de superficie, y la proporción de células en dicho rango. Se aplicó para la construcción del clasificador el método del Ratio de Fisher. Para cada paciente se tiene el nivel de expresión de cada uno de los marcadores, es decir, la distribución asociada a cada marcador. Se construye las distribuciones de los grupos de paciente con y sin recaída. Se compara ambas distribuciones obteniéndose la curva de percentiles asociada y el ratio de Fisher. Esto permite obtener los marcadores y percentiles con diferencias más acusadas. A partir de estas diferencias, se construye el clasificador. Se realiza una partición del conjunto de pacientes, dividiendo en grupo de entrenamiento y grupo de validación, variando dichos grupos para asegurar la independencia de la muestra (técnica de validación de K-fold). Para cada partición se calculan las diferencias importantes según el ratio de Fisher, se seleccionan las características más relevantes y se clasifican los pacientes del grupo de validación en recaída o no.

3 Resultados

Se obtiene para cada paciente y marcador su curva de percentiles, y se utiliza el ratio de Fisher para encontrar diferencias significativas entre los grupos de recaída y no recaída. Esta metodología permite construir un clasificador basado en esta medida, haciendo posible estimar la capacidad predictiva de las diferencias encontradas. El análisis reportó diferencias significativas en el marcador de superficie CD38, y su conjunción con otros marcadores de relevancia permitió la construcción de un clasificador con área bajo la curva de hasta el 80%. Estas diferencias fueron correlacionadas con datos clínicos, citogenéticos y de biología molecular pertenecientes a los pacientes.

4 Conclusiones/ Conclusões

El uso de técnicas de discriminación de inmunofenotipos que puedan ser útiles para la selección de marcadores característicos puede mejorar el seguimiento tras el diagnóstico inicial, además de poder anticiparse a la recaída y adecuar el tratamiento.



SEHOP
SOCIEDAD ESPAÑOLA
DE HEMATOLOGÍA Y ONCOLOGÍA
PEDIÁTRICAS

SOCIEDADE DE HEMATOLOGIA
E ONCOLOGIA PEDIATRICA
DA SOCIEDADE PORTUGUESA DE PEDIATRIA

1^{ER} CONGRESO IBÉRICO DE HEMATOLOGIA Y ONCOLOGIA PEDIATRICAS

virtual

21 Y 23 SEPT 2021
28 Y 30 SEPT

C0123 ACCESO A ENSAYOS CLÍNICOS PRECOCES EN PACIENTES CON NEUROBLASTOMA REFRACTARIO O EN RECAÍDA. UN ESTUDIO INTERNACIONAL MULTICÉNTRICO

MARTA CORTES HERNANDEZ, Alba Rubio San Simón (Unidad de Ensayos Clínicos, Oncohematología Pediátrica, Hospital Universitario Niño Jesús, Madrid), Fernando Carceller Lechon (Children and Young People's Unit, The Royal Marsden NHS Foundation Trust, London, UK; and the Division of Clinical Studies, The Institute of Cancer Research, London, UK.), Sucheta J Vaidya (Children and Young People's Unit, The Royal Marsden NHS Foundation Trust London, UK; and the Division of Clinical Studies), Francisco Jose Bautista Sirvent (Unidad de Ensayos Clínicos, Oncohematología Pediátrica Hospital Universitario Niño Jesús, Madrid), Lucas Moreno Martin-Retortillo (Unidad de Oncohematología Pediátrica. Unidad de Investigación translacional en cancer en infancia y adolescencia, Vall d'Hebron Institute de Recerca (VHIR); Hospital Universitari Vall d'Hebron, Barcelona)

1 Objetivos/ Metas

El neuroblastoma es el tumor sólido extracraneal más frecuente en niños, y su pronóstico en casos de enfermedad refractaria o en recaída es desfavorable. Los ensayos clínicos Fase I y II juegan un papel crucial en el desarrollo de nuevas terapias frente al neuroblastoma. Favorecer el reclutamiento de pacientes en ensayos clínicos es crucial para el desarrollo de los mismos, así como para permitir el acceso a pacientes en situación de enfermedad refractaria/recaída a nuevas terapias. El objetivo primario fue determinar la tasa de participación en ensayos clínicos en niños con neuroblastoma refractario/recaída en dos de las Unidades de Ensayos Clínicos más grandes de Europa (Hospital Niño Jesús en Madrid y Royal Marsden Hospital en Londres).

2 Material y Métodos/ Material e métodos

Se analizaron datos de pacientes con diagnóstico de neuroblastoma refractario/recaída entre Enero de 2012 y Diciembre de 2018

3 Resultados

Se incluyeron 48 pacientes: 42 (88%) con neuroblastoma alto riesgo al diagnóstico Treinta y siete pacientes (56,3% presentaban recaída y 21 (43,8%) fueron refractarios al tratamiento de primera línea. Se realizaron estudios de diagnóstico molecular a la mitad de los casos, 8 presentaban sobreexpresión de ALK. Un total de 31 (65%) de casos refractarios/recaída se incluyeron en ensayos clínicos precoces, el 68% fueron derivados de otros centros. Las razones principales para la no participación en ensayos fue no cumplir criterios de inclusión (n=12, 70%) o fallo de screening (n=2, 12%). El tiempo medio en ensayo fue de 4,3 meses (rango 0,6-13,4). La causa más común de discontinuación fue progresión de enfermedad (67,7%). Sólo un paciente (3%) salió de ensayo por toxicidad. Para los pacientes reclutados en ensayos clínicos, la supervivencia media global fue mayor en neuroblastoma refractario (28 meses, IC de 95%, 20,9-40,2) que en pacientes con recaída (14 meses, IC de 95%, 8,1-20,1) [p=0,0034].

4 Conclusiones/ Conclusões

Aunque dos tercios de niños con neuroblastoma refractario/recaída fueron incluidos en ensayos clínicos, las tasas de reclutamiento pueden mejorarse, considerando que estos pacientes pueden participar en más de un ensayo clínico, el mal pronóstico de la enfermedad de casos de refractariedad/recaída y la ausencia de terapias curativas en situación de recidiva. El motivo principal para no participar en ensayos, fue no cumplir criterios de inclusión. Este estudio pone de manifiesto los obstáculos para acceder a nuevas terapias en niños con neuroblastoma refractario/recaída en dos de las mayores Unidades de Ensayos Clínicos en Europa, identificando puntos de mejora para favorecer las tasas de reclutamiento.



SEHOP
SOCIEDAD ESPAÑOLA
DE HEMATOLOGÍA Y ONCOLOGÍA
PEDIÁTRICAS

1^{ER} CONGRESO IBÉRICO DE HEMATOLOGIA Y ONCOLOGIA PEDIATRICAS

virtual

21 Y 23 SEPT 2021
28 Y 30 SEPT

C0124 HERRAMIENTAS BIOINFORMÁTICAS PARA LA DETECCIÓN DE VARIANTES EN MOSAICO EN PACIENTES DE RETINOBLASTOMA

Beatriz Ruz-Caracuel, Carlos Rodríguez-Antolín (Laboratorio de Epigenética del Cáncer, Grupo de Terapias y Biomarcadores Experimentales en Cáncer, Instituto de Investigación Hospital Universitario La Paz (IdiPAZ). Madrid. España), Alicia Pernas (Grupo de Investigación Traslacional en Oncología Pediátrica, Trasplante de Progenitores Hematopoyéticos y Terapia Celular Instituto de Investigación Hospital Universitario La Paz (IdiPAZ). Madrid. España Instituto de Genética Médica y Molecular (INGEMM)), Nerea Matamala-Zamarro (Grupo de Investigación Traslacional en Oncología Pediátrica, Trasplante de Progenitores Hematopoyéticos y Terapia Celular Instituto de Investigación Hospital Universitario La Paz (IdiPAZ). Madrid. España Instituto de Genética Médica y Molecular (INGEMM)), Antonio Pérez Martínez (Grupo de Investigación Traslacional en Oncología Pediátrica, Trasplante de Progenitores Hematopoyéticos y Terapia Celular Instituto de Investigación Hospital Universitario La Paz (IdiPAZ). Madrid. España. Servicio de Hemato-Oncología Pediátrica, Hospital), Adela Escudero López (Grupo de Investigación Traslacional en Oncología Pediátrica, Trasplante de Progenitores Hematopoyéticos y Terapia Celular Instituto de Investigación Hospital Universitario La Paz (IdiPAZ). Madrid. España Instituto de Genética Médica y Molecular (INGEMM)).

1 Objetivos/ Metas

El retinoblastoma es el cáncer ocular más predominante en pediatría y está causado por la inactivación bialélica del gen RB1. Existen dos tipos de retinoblastoma, el no hereditario, causado por la presencia de dos mutaciones somáticas y el hereditario, con una mutación germinal y otra somática. La identificación de mutaciones germinales es clave para el correcto diagnóstico y manejo clínico de los pacientes. Sin embargo, entre un 3-5% de los retinoblastomas hereditarios presentan mutaciones germinales en mosaico que pueden no detectarse con técnicas clásicas como la secuenciación Sanger o el MLPA (*Multiplex Ligation-dependent Probe Amplification*). El objetivo de este estudio es generar un protocolo bioinformático (pipeline) que permita la caracterización de mutaciones en mosaico empleando NGS (*Next Generation Sequencing*) con el fin de optimizar el diagnóstico, seguimiento y asesoramiento genético a familias con hijos con retinoblastoma.

2 Material y Métodos/ Material e métodos

Se utilizó un panel de NGS de captura híbrida y de diseño propio, mut4C, que incluía el gen RB1. Se realizó la secuenciación con tecnología Illumina se llevó a cabo el análisis bioinformático. Se optimizó una pipeline de mutaciones somáticas para la caracterización de mutaciones en baja frecuencia alélica y se aplicó para la determinación de mosaicismos en 19 pacientes con retinoblastoma y 1 familiar. Esta pipeline fue validada con una cohorte de referencia con la que se determinó la presencia de mutaciones con frecuencia alélica mayor al 4% a partir de profundidades medias superiores a 500X y a partir del 5% para 300X.

3 Resultados

La profundidad media de las muestras secuenciadas por NGS fue de 899X (374X-1519X), y el porcentaje medio de pares de bases por encima de 250X fue de 93.4% (74.5%-98.9%). La pipeline optimizada para la identificación de mutaciones en mosaico permitió identificar mosaicismos en el gen RB1 en 6 de las muestras analizadas (30%), permitiendo no solo mejorar el rendimiento diagnóstico, sino también mejorar el asesoramiento genético de estas familias. Tres de estas mutaciones en mosaico no se habrían podido identificar mediante las técnicas clásicas.

4 Conclusiones/ Conclusões

La correcta caracterización de las mutaciones en mosaico mejora la tasa diagnóstica de los pacientes con retinoblastoma hereditario y permite llevar a cabo el correcto seguimiento y asesoramiento genético tanto de los pacientes como de sus familiares. Para ello, es imprescindible el uso de un correcto protocolo bioinformático que, junto con una completa validación, permita caracterizar este tipo de mutaciones con una alta incidencia en pacientes de retinoblastoma.



SEHOP
SOCIEDAD ESPAÑOLA
DE HEMATOLOGÍA Y ONCOLOGÍA
PEDIÁTRICAS

1^{ER} CONGRESO IBÉRICO DE HEMATOLOGÍA Y ONCOLOGÍA PEDIÁTRICAS

virtual

21 Y 23 SEPT 2021
28 Y 30 SEPT

C0126 GLIOMA DIFUSO POTUBERANCIA (DIPG). EXPERIENCIA DE UN CENTRO A LO LARGO DE LOS AÑOS

Miguel García Ariza, Aizpea Echebarria Barona (Unidad de Hematología y Oncología Pediátrica. Hospital Universitario Cruces. IIS Biocruces Bizkaia. Barakaldo (Bizkaia). España), Rosa Adan Pedroso (Unidad de Hematología y Oncología Pediátrica. Hospital Universitario Cruces. IIS Biocruces Bizkaia. Barakaldo (Bizkaia). España), Jimena De Pedro Olabarrí (Unidad de Hematología y Oncología Pediátrica. Hospital Universitario Cruces. IIS Biocruces Bizkaia. Barakaldo (Bizkaia). España), Paula Gonzalez Urdiales (Unidad de Hematología y Oncología Pediátrica. Hospital Universitario Cruces. IIS Biocruces Bizkaia. Barakaldo (Bizkaia). España), Lide Alaña Rodrigo (Instituto de Investigación Sanitaria IIS Biocruces Bizkaia. Barakaldo (Bizkaia). España), Ricardo Lopez Almaraz (Unidad de Hematología y Oncología Pediátrica. Hospital Universitario Cruces. IIS Biocruces Bizkaia. Barakaldo (Bizkaia). España), Itziar Astigarraga Aguirre (Unidad de Hematología y Oncología Pediátrica. Hospital Universitario Cruces. IIS Biocruces Bizkaia. Barakaldo (Bizkaia). España)

1 Objetivos/ Metas

El glioma difuso de protuberancia (DIPG) continúa siendo uno de los tumores de sistema nervioso central sin un tratamiento definido que permita opciones curativas. A lo largo de los años se han intentado diferentes tipos de estrategias, siendo la mayoría de ellas inefectivas o con una eficacia parcial y temporal. Se revisa la experiencia en tumores con este diagnóstico a nivel de nuestro centro a lo largo de la última década.

2 Material y Métodos/ Material e métodos

Revisión de todos los casos con diagnóstico de glioma difuso de protuberancia diagnosticados y/o tratados en nuestro centro entre los años 2011-2020.

Se valoran sexo, edad al diagnóstico, realización de biopsia, tratamiento de radioterapia, otros tratamientos recibidos, tiempo hasta progresión y supervivencia.

3 Resultados

Se encontraron 12 casos de DIPG. 7 fueron varones (58,3%). La mediana de edad al diagnóstico fue de 6,1 años, con un rango de 3,4 a 9,6 años.

Se realizó biopsia en 3 ocasiones (25%) y resección parcial en una. Se administró radioterapia en 10 ocasiones. No se administró en dos pacientes con rápido deterioro inicial y exitus en fechas próximas tras el diagnóstico. En los 10 casos tratados con radioterapia inicial el rango de dosis fue de 54-59,4 Gy. Se administró de forma aislada en 6, se administró con temozolamida (TMZ) concomitante en 3 ocasiones, con vinorelbina en 1. Tras la radioterapia se administró tratamiento antiangiogénico oral en 4, TMZ en 2, SIOP-LGG-2004 en uno, y sin otros tratamientos en 3. En situaciones de progresión se utilizó metronómica en 2 y reirradiación en otros 2. Dos pacientes participaron en ensayo clínico con virus oncolíticos. En 2 casos se administró Bevacizumab para el control de radionecrosis.

La mediana del tiempo hasta progresión fue de 6,7 meses, con un rango de 3-18 meses. Hubo una pérdida de seguimiento de un paciente que tras progresión volvió a su país de origen. Para los restantes 11 casos el tiempo hasta exitus tuvo una mediana de 9,7 meses (rango 3 semanas a 23 meses). Excluyendo los dos casos de exitus precoz, la mediana es de 12 meses (rango 6,4 -23 meses).

4 Conclusiones/ Conclusões

Nuestra experiencia es similar a la referida en la literatura. Ninguna de las estrategias propuestas logró diferencias en el manejo de los pacientes. Dado el pronóstico infausto, se necesitan ensayos clínicos con nuevas terapias y la inclusión de los pacientes en los mismos para poder encontrar nuevas estrategias que permitan enfoques no solamente paliativos en el manejo de estos pacientes.



SEHOP
SOCIEDAD ESPAÑOLA
DE HEMATOLOGÍA Y ONCOLOGÍA
PEDIÁTRICAS

1^{ER} CONGRESO IBÉRICO DE HEMATOLOGÍA Y ONCOLOGÍA PEDIÁTRICAS

virtual

21 Y 23 SEPT 2021
28 Y 30 SEPT

C0127 CÁNCER EN EL ADOLESCENTE: REVISIÓN DE NUESTRA CASUÍSTICA

Cristina Jiménez Cobo, M. A. Vázquez López (Hemato-Oncología Pediátrica, Hospital Materno Infantil Torrecárdenas, Almería, España), M.J. Granados Prieto (Hemato-Oncología Pediátrica, Hospital Materno Infantil Torrecárdenas, Almería, España), E. Rodríguez de la Cruz (Hemato-Oncología Pediátrica, Hospital Materno Infantil Torrecárdenas, Almería, España), A. Bartolomé Muñoz (Hemato-Oncología Pediátrica, Hospital Materno Infantil Torrecárdenas, Almería, España), C. Sánchez Ramírez (Hemato-Oncología Pediátrica, Hospital Materno Infantil Torrecárdenas, Almería, España), F. Lendinez Molinos (Hemato-Oncología Pediátrica, Hospital Materno Infantil Torrecárdenas, Almería, España)

1 Objetivos/ Metas

El diagnóstico de cáncer en el adolescente exige un abordaje distinto a la edad infantil. La aceptación del tratamiento oncológico y sus complicaciones y secuelas, el cambio de la imagen corporal, el futuro incierto derivado del pronóstico de una enfermedad grave, son realidades a las que tiene que hacer frente el adolescente y que hace imprescindible la consideración de equipos multidisciplinares específicos.

Objetivo: Describir las características de los casos de cáncer en adolescentes diagnosticados en nuestro servicio y analizar la evolución y supervivencia.

2 Material y Métodos/ Material e métodos

Material y métodos: Se revisan las historias clínicas de los pacientes diagnosticados de cáncer entre Enero 1994-Junio 2021 que precisaron tratamiento oncológico en la adolescencia (12-21 años). Se incluyeron 92 nuevos diagnósticos, 3 recidivas tardías y 3 segundas neoplasias. Analizamos características clínicas, tipo de neoplasia, tratamiento y evolución. La supervivencia se analizó en la cohorte 1994-2016, utilizando la curva de Kaplan-Meier.

3 Resultados

Resultados: Se analizaron 98 pacientes con una edad media de $13,59 \pm 1,6$ años, de los cuales 58 fueron varones (59.2%). La distribución según el tipo de neoplasia fue: linfomas 18 (18.4%), leucemias 19 (19.4%), tumores de SNC 28 (28.6%), óseos 12 (12.2%); renales 3 (3.1%); neuroblastomas 2 (2%), sarcomas 6 (6.1%), y otras neoplasias 7 (7.1%). Las recidivas tardías correspondieron a NB, LLA y leiomiomas. Los segundos tumores correspondieron a LMA tras LNH, 1 osteoblastoma tras LLA y 1 meningioma tras LLA, con tiempo de latencia medio de $12,4 \pm 7,8$ años. Recidivaron 20 (20.4%) y fueron éxitos 18 (18.4%): 50% por enfermedad progresiva, 33,3% por causa infecciosa, 11,1% neurológica y 5,6% por hemorragia. De los 80 supervivientes, el 41.8% presentó algún tipo de secuela (19 consideradas graves). Las causas más frecuentes fueron: neurológicas (35,7%) y endocrinas (16,7%), seguidas por las musculoesqueléticas (14,3%), estéticas (11,9%), renales (4,8%) y 2º tumor (4,8%). La media de seguimiento fue de $72,24 \pm 41,17$ meses. Hasta el 2015, la supervivencia global a los 5 años del diagnóstico fue del 76,7%. Todos precisaron apoyo psicológico.

4 Conclusiones/ Conclusões

Conclusiones: Los linfomas, leucemias, tumores de SNC y óseos fueron los más frecuentemente observados. Las secuelas se presentan en una alta proporción. El diagnóstico de cáncer en el adolescente debe considerar el apoyo psicológico en todos los casos, sobre todo en aquellos pacientes con experiencia oncológica previa (recidivas y segundas neoplasias). La supervivencia obtenida es algo inferior a la descrita en la infancia. Mejorar el pronóstico del cáncer en el adolescente debe ser la meta de todo equipo multidisciplinar.



SEHOP
SOCIEDAD ESPAÑOLA
DE HEMATOLOGÍA Y ONCOLOGÍA
PEDIÁTRICAS

SOCIEDADE DE HEMATOLOGIA
E ONCOLOGIA PEDIATRICA
DA SOCIEDADE PORTUGUESA DE PEDIATRIA

1^{ER} CONGRESO IBÉRICO DE HEMATOLOGIA Y ONCOLOGIA PEDIATRICAS

virtual

21 Y 23 SEPT 2021
28 Y 30 SEPT

C0131 ¿ES REALMENTE EL PERFIL DE CNV UN FACTOR PRONÓSTICO INDEPENDIENTE DE LA RESPUESTA AL TRATAMIENTO EN LA LEUCEMIA LINFOBLÁSTICA AGUDA? ESTUDIO RETROSPECTIVO EN UNA COHORTE DE PACIENTES CON LLA TRATADOS CON LA GUÍA SEHOP-PETHEMA 2013

Gloria Hidalgo Gómez, Pablo Velasco (Servicio de Oncología y Hematología Pediátrica, Hospital Universitari Vall d'Hebron. Barcelona, España), Laura Murillo (Servicio de Oncología y Hematología Pediátrica, Hospital Universitari Vall d'Hebron. Barcelona, España), Thais Murciano (Servicio de Oncología y Hematología Pediátrica, Hospital Universitari Vall d'Hebron. Barcelona, España), Noemí Martínez Morgado (Servicio de Hematología, Hospital Universitari Vall d'Hebron; Experimental Hematology, Vall d'Hebron Institute of oncology (VHIO). Barcelona, España), Cristina Díaz de Heredia (Servicio de Oncología y Hematología Pediátrica, Hospital Universitari Vall d'Hebron. Barcelona, España), Josep Sánchez de Toledo (Departamento de Relaciones Institucionales, Institut Català de Oncologia. Hospitalet de Llobregat, España), Margarita Ortega (Servicio de Hematología, Hospital Universitari Vall d'Hebron; Experimental Hematology, Vall d'Hebron Institute of oncology (VHIO). Barcelona, España)

1 Objetivos/ Metas

En la leucemia linfoblástica aguda (LLA), la enfermedad mínima residual (EMR) es el principal factor pronóstico de la respuesta al tratamiento. Aun así, pacientes con buena respuesta recaen. Recientemente se ha propuesto una nueva clasificación para estratificar los pacientes pediátricos con LLA-B en función de las alteraciones citogenéticas y las variaciones en el número de copias (CNV), pudiendo identificar grupos de pacientes con mayor probabilidad de recaída.

El objetivo de este estudio ha sido determinar si el perfil CNV es un factor pronóstico independiente de la EMR en una serie de pacientes pediátricos con LLA-B.

2 Material y Métodos/ Material e métodos

Análisis retrospectivo de CNV de 71 pacientes diagnosticados de LLA-B entre enero-2014 y febrero-2021 incluidos en las guías de recomendaciones terapéuticas LLA/SEHOP-PETHEMA 2013. Se usó el kit SALSA MLPA P335 (MRC Holland) que incluye sondas para *IKZF1*, *CDKN2A/B*, *PAX5*, *EBF1*, *ETV6*, *BTG1*, *RB1* y *PAR1(P2RY8, CRLF2)*.

3 Resultados

Los genes que se delecionaron con más prevalencia fueron: *ETV6* (38%), *CDKN2A/B* (28%), *PAX5* (25%) e *IKZF1* (17%). No se observaron CNV en el 31% de los casos, mientras que mostraron 1, 2 o ≥ 3 CNV el 22%, 14% y 33% respectivamente.

El 56% eran varones, la mediana de edad fue de 4 años, la mayoría presentaron un fenotipo B común, el 94% alcanzaron la remisión completa (RC) y el 8% recayó con una mediana de seguimiento de 24 meses. La supervivencia libre de enfermedad (SLE) de aquellos pacientes con EMR <1% a día+33 a los cuatro años ha sido del 100% para CNV de buen pronóstico (CNV-BP), 86% para CNV de pronóstico intermedio (CNV-PI) y 55% para CNV de mal pronóstico (CNV-MP).

La edad ≥ 10 años, el fenotipo, la citogenética de riesgo intermedio o alto, no lograr la RC, la recaída y una menor SLE se ha dado con mayor frecuencia en el grupo CNV-MP, siendo las diferencias significativas.

4 Conclusiones/ Conclusões

A pesar de ser una muestra pequeña, el perfil de CNV es un factor pronóstico independiente de la EMR. En aquellos pacientes con EMR <1% tras la consolidación, a pesar de la buena respuesta al tratamiento, tener un perfil de CNV-MP conlleva una mayor probabilidad de recaída; dentro de este grupo de pacientes, se puede identificar un grupo de muy buen pronóstico (CNV-BP) con SLE a 4 años del 100% y un grupo de mal pronóstico (CNV-MP) con SLE a 4 años del 55%.

Los autores declaran no tener ningún conflicto de interés.

Proyecto financiado por la fundación FERO.



SEHOP
SOCIEDAD ESPAÑOLA
DE HEMATOLOGÍA Y ONCOLOGÍA
PEDIÁTRICAS

1^{ER} CONGRESO IBÉRICO DE HEMATOLOGIA Y ONCOLOGIA PEDIATRICAS

virtual

21 Y 23 SEPT 2021
28 Y 30 SEPT

C0132 PATRÓN Y FRECUENCIA DE DOLOR EN PACIENTES PEDIÁTRICOS CON CÁNCER EN ATENCIÓN POR CUIDADOS PALIATIVOS PEDIÁTRICOS

Íñigo de Noriega Echevarría (Pediatria, HU Puerta de Hierro-Majadahonda, Majadahonda, España), Raquel Jiménez García (Servicio de Pediatría, Hospital Infantil Universitario del Niño Jesús, Madrid, España), Ricardo Martino Alba (Unidad de Atención Integral Paliativa Pediátrica, Hospital Infantil Universitario del Niño Jesús, Madrid, España), Luis Madero López (Servicio de Hematología y Oncología Pediátrica, Hospital Infantil Universitario del Niño Jesús, Madrid, España), **Blanca Herrero Velasco**

1 Objetivos/ Metas

El dolor es uno de los problemas más frecuentes y con mayor complejidad en el periodo de final de vida de los pacientes pediátricos con cáncer, especialmente en determinados patrones como el dolor neuropático. El tipo de cáncer se ha descrito como factor diferencial del tipo de patrón de dolores presentados. El objetivo de este trabajo es describir la frecuencia y los diferentes patrones de dolor existentes en pacientes fallecidos por cáncer atendidos por una unidad de cuidados paliativos pediátricos (UCPP) según el tipo de tumor en nuestro medio.

2 Material y Métodos/ Material e métodos

Estudio retrospectivo descriptivo de análisis de historia clínicas de pacientes fallecidos por cáncer entre Enero-2010 y Diciembre-2019 en un hospital pediátrico terciario en la que se basa la Unidad de Cuidados Paliativos Pediátricos (UCPP) regional. Se recogieron datos de las características epidemiológicas y tipo/tipos de patrones de dolor existentes. Para la comparación de frecuencias se empleó el test Chi-cuadrado o test exacto de Fisher, cuando no era aplicable con un nivel de significación de $p < 0.05$.

3 Resultados

De un total de 159 pacientes fallecidos por cáncer, el 58.5% fueron varones, con una mediana de edad al inicio de atención de 9.4 años (RIQ: 5.8-14.1). Un 18.9% presentaban neoplasias hematológicas, un 37.1% tumores del SNC y un 44.0% tumores sólidos extracraneales. La mediana del tiempo de seguimiento hasta el fallecimiento fue de 1.4 meses (RIQ: 0.5-2.8).

El 93.7% de los pacientes presentaron algún tipo de dolor, el 89.3% dolor nociceptivo, un 50.3% dolor neuropático, un 23.5% dolor óseo y un 15.4% dolor visceral. Los pacientes con tumores sólidos, presentaron dolor en general con mayor frecuencia (100%) frente a tumores del SNC (89.8%) y neoplasias hematológicas (86.7%), sin diferencias entre estos dos grupos. También presentaron mayor frecuencia de dolor neuropático (67.1%) que los tumores del SNC (45.3%) y estos mayor que las neoplasias hematológicas (15.4%). El dolor óseo fue significativamente más frecuente en pacientes con tumores sólidos (38.6%) y hematológicos (23.1%) frente a tumores del SNC (3.8%). El dolor visceral fue más frecuente en tumores sólidos (25.7%) con respecto a tumores del SNC (3.8%), sin diferencias de ambos grupos con respecto a neoplasias hematológicas (11.5%). No se hayaron diferencias en la frecuencia de dolor nociceptivo.

4 Conclusiones/ Conclusões

Se observó una alta frecuencia de dolor en todos los tipos de tumores. Los pacientes con tumores sólidos, presentaron una frecuencia muy alta de distintos patrones de dolor, incluyendo dolor neuropático, óseo y visceral.



SEHOP
SOCIEDAD ESPAÑOLA
DE HEMATOLOGÍA Y ONCOLOGÍA
PEDIÁTRICAS

1^{ER} CONGRESO IBÉRICO DE HEMATOLOGIA Y ONCOLOGIA PEDIATRICAS

virtual

21 Y 23 SEPT 2021
28 Y 30 SEPT

C0134 FRECUENCIA Y ACCIONABILIDAD DE VARIANTES PATOGENICAS EN GENES DE SUSCEPTIBILIDAD AL CÁNCER IDENTIFICADAS COMO HALLAZGOS SECUNDARIOS EN EL ANÁLISIS DE EXOMAS CLÍNICOS

Estela Carrasco Lopez, Sara Torres Esquius (Unidad de Genética Clínica del Cáncer, Departamento de Oncología Médica, Hospital Vall d'Hebron, Barcelona), Orland Díaz Gibert (Laboratorio de Oncogenética, Área de Genética Clínica y Molecular, Hospital Vall d'Hebron, Barcelona), Marta Codina Sola (Área de Genética Clínica, Hospital Vall d'Hebron, Barcelona), María Irene Valenzuela Palafox (Área de Genética Clínica, Hospital Vall d'Hebron, Barcelona), Constantino Sábado Álvarez (Servicio de Oncología y Hematología Pediátricas, Hospital Vall d'Hebron, Barcelona), Lucas Moreno Martín Retortillo (Servicio de Oncología y Hematología Pediátricas, Hospital Vall d'Hebron, Barcelona), Judith Balmaña Gelpi (Unidad de Genética Clínica del Cáncer, Departamento de Oncología Médica, Hospital Vall d'Hebron, Barcelona)

1 Objetivos/ Metas

La secuenciación del exoma en pediatría es útil en la identificación de causas genéticas de ciertos síndromes, principalmente en la esfera neurológica y de retraso psicomotor. En este análisis se identifican ocasionalmente alteraciones genéticas no relacionadas con la sospecha diagnóstica (hallazgos secundarios). Las recomendaciones de algunas sociedades (*ACMG guidelines, Kalia 2017*) recomendaban analizar adicionalmente 59 genes, entre los cuáles algunos son genes de susceptibilidad al cáncer (GSC). Nuestro objetivo fue analizar la frecuencia de hallazgos secundarios en GSC y su accionabilidad clínica.

2 Material y Métodos/ Material e métodos

Se incluyeron 533 pacientes mayoritariamente pediátricos en el Hospital Vall d'Hebrón entre enero de 2017 y agosto de 2020 en los que se solicitó exoma, con indicaciones de retraso psicomotor o síndrome neurológico no filiado. Todos los pacientes/representantes legales firmaron consentimiento y aceptaron recibir resultados de los hallazgos secundarios. En caso de identificarse una alteración patogénica, se indicó el estudio en familiares

3 Resultados

La frecuencia de hallazgos secundarios en GSC fue de 11/533 (2%). Estos hallazgos se encontraron en 6 genes: *BRCA2* (3) y *BRCA1* (1)(Cáncer de mama y ovario hereditario), *SDHB* (2)(Paraganglioma familiar), *PMS2* (3) y *MLH1* (1)(Cáncer de colon y endometrio hereditario, Síndrome de Lynch), por último *RAD51C* (1)(Cáncer de ovario hereditario). En 9 casos (82%) no había historia oncológica familiar sugestiva. En 6/7 menores se identificó una alteración en un GSC de aparición en la vida adulta. De 42 estudios predictivos en familiares, 18 fueron portadores (43%). Se inició detección precoz de cáncer en 22 (4 casos índice y 18 familiares). Se han diagnosticado tumores en 4 (18%), un cáncer de mama en una mujer de 74 años en la primera mamografía post-estudio genético, 3 paragangliomas, uno en el primer cribado a los 10 años de edad (multifocal), en una mujer sana a los 35 años (localizado), y en otra mujer de 56 años (localizado). En una portadora de *PMS2* se reseccionaron dos pólipos adenomatosos tubulares en la primera colonoscopia. Se realizó una biopsia prostática en un varón portador de *BRCA2* por sospecha en prueba de imagen con resultado negativo.

4 Conclusiones/ Conclusões

Se han identificado hallazgos secundarios en GSC en el 2% de los exomas solicitados. El 18% de los individuos que iniciaron un seguimiento fueron diagnosticados de un tumor, y en un 75% de estos fue en estadio precoz. La comunicación de hallazgos incidentales en exomas pediátricos desvela alteraciones en GSC de aparición en la vida adulta.



SEHOP
SOCIEDAD ESPAÑOLA
DE HEMATOLOGÍA Y ONCOLOGÍA
PEDIÁTRICAS

1^{ER} CONGRESO IBÉRICO DE HEMATOLOGÍA Y ONCOLOGÍA PEDIÁTRICAS

virtual

21 Y 23 SEPT 2021
28 Y 30 SEPT

C0135 TUMORES DE SISTEMA NERVIOSO CENTRAL EN EL PRIMER AÑO DE VIDA. CARACTERÍSTICAS CLÍNICAS, DIAGNÓSTICO, TRATAMIENTO Y EVOLUCIÓN DE LA COHORTE HISTÓRICA DE UN CENTRO.

Miguel Garcia Ariza, Gregorio Catalán Uribarrena (Servicio de Neurocirugía. Hospital Universitario Cruces. Barakaldo (Bizkaia). España), Edurne Ruiz de Gopegui Ruiz (Servicio de Neurocirugía. Hospital Universitario Cruces. Barakaldo (Bizkaia). España), Lara Galbarriatu Rodríguez (Servicio de Neurocirugía. Hospital Universitario Cruces. Barakaldo (Bizkaia). España), Rosa Adan Pedroso (Unidad de Hematología y Oncología Pediátrica. Hospital Universitario Cruces. IIS Biocruces Bizkaia. Barakaldo (Bizkaia). España), Jimena De Pedro Olabarrí (Unidad de Hematología y Oncología Pediátrica. Hospital Universitario Cruces. IIS Biocruces Bizkaia. Barakaldo (Bizkaia). España), Ricardo Lopez Almaraz (Unidad de Hematología y Oncología Pediátrica. Hospital Universitario Cruces. IIS Biocruces Bizkaia. Barakaldo (Bizkaia). España), Itziar Astigarraga Aguirre (Unidad de Hematología y Oncología Pediátrica. Hospital Universitario Cruces. IIS Biocruces Bizkaia. Barakaldo (Bizkaia). España)

1 Objetivos/ Metas

Los tumores de Sistema Nervioso Central (SNC) en los primeros años de la vida tienen unas características clínicas, localización, distribución de histologías, tratamientos y pronóstico propios, que los diferencian de otras edades pediátricas. Se plantea revisar nuestra experiencia de los últimos 15 años.

2 Material y Métodos/ Material e métodos

Se revisan los tumores de SNC diagnosticados entre los años 2005 a 2020. De ellos se escogen los casos diagnosticados con un año de vida o menos.

Se valoró sexo, edad al diagnóstico, localización, diseminación, histología, presencia de síndrome de predisposición genética, tratamientos recibidos, supervivencia, necesidad de derivación y secuelas en los supervivientes.

3 Resultados

Se encontraron 20 casos. 13 varones. La mediana de edad fue 7,4 meses. Localización: 17 supratentoriales (85%), 1 en médula espinal (5%). Sólo un caso metastático. Las histologías fueron de glioma de bajo grado (11), glioma de alto grado (2), papiloma plexos atípico (2), embrionario no meduloblastoma (2), ATRT (1), ependimoma (1) y craneofaringioma (1).

En un caso se diagnosticó una neurofibromatosis tipo 1. Se realizó resección completa en 5 casos, parcial en 9, biopsia en 4 y ninguna cirugía en 2 (gliomas de vía óptica). Se administró quimioterapia en 8 casos. En ninguno radioterapia. La supervivencia global es del 70%, con 14 pacientes vivos (10 gliomas bajo grado, 1 embrionario no MB, 1 ependimoma, 1 papiloma de plexos y 1 craneofaringioma), con una mediana de seguimiento de 53 meses (con un rango de 26-184 meses). 5 son portadores de VDVP y 1 de ventriculostomía. Un 21% no presenta ninguna secuela a largo plazo, y en el resto las principales son neurológicas (42% de los supervivientes), oftalmológicas (50%) y endocrinológicas (14%) en diferentes grados de gravedad.

4 Conclusiones/ Conclusões

Los tumores de SNC en el primer año de vida presentan características diferenciales con los que aparecen en otras edades. En nuestra experiencia, comparado con otras edades pediátricas, la distribución de histologías no fue tan atípica, sí lo fue la localización, fundamentalmente supratentorial y los tratamientos administrados. La cirugía fue clave en el control de la enfermedad, seguida de quimioterapia en los casos necesarios. Ningún paciente recibió radioterapia en el tratamiento inicial o seguimiento posterior. La observación fue una opción en casos de gliomas asintomáticos, similar a otras edades. Las secuelas en los supervivientes estuvieron presentes en la mayoría de los casos, asociadas a la localización o a los tratamientos indicados.



SEHOP
SOCIEDAD ESPAÑOLA
DE HEMATOLOGÍA Y ONCOLOGÍA
PEDIÁTRICAS

SOCIEDADE DE HEMATOLOGIA
E ONCOLOGIA PEDIATRICA
DA SOCIEDADE PORTUGUESA DE PEDIATRIA

1^{ER} CONGRESO IBÉRICO DE HEMATOLOGIA Y ONCOLOGIA PEDIATRICAS

virtual

21 Y 23 SEPT 2021
28 Y 30 SEPT

C0136 APLICACIÓN DE LA PROTEÓMICA EN LA IDENTIFICACIÓN DE MARCADORES DE DIAGNÓSTICO Y MONITORIZACIÓN EN LEUCEMIA LINFOBLÁSTICA AGUDA DE PRECURSORES B PEDIÁTRICA

Susana García Obregon, Ester Vicastillo Paredes (Grupo de Oncología Pediátrica. Instituto Investigación Sanitaria Biocruces Bizkaia, Barakaldo, España), Jimena de Pedro Olabarrí (Grupo de Oncología Pediátrica. Instituto Investigación Sanitaria Biocruces Bizkaia. Servicio Oncología Pediátrica. Hospital Universitario Cruces, Barakaldo, España), Rosa María Adan Pedroso (Grupo de Oncología Pediátrica. Instituto Investigación Sanitaria Biocruces Bizkaia. Servicio Oncología Pediátrica. Hospital Universitario Cruces, Barakaldo, España), Aizpea Beatriz Echebarria Barona (Grupo de Oncología Pediátrica. Instituto Investigación Sanitaria Biocruces Bizkaia. Servicio Oncología Pediátrica. Hospital Universitario Cruces Barakaldo, España), Mikel Azkargorta Mugika (Proteomics Platform, CIC bioGUNE, Basque Research and Technology Alliance (BRTA), CIBERehd, ProteoRed-ISCIII, Derio, España), Felix Elortza Basterrika (Proteomics Platform, CIC bioGUNE, Basque Research and Technology Alliance (BRTA), CIBERehd, ProteoRed-ISCIII, Derio, España), Itziar Astigarraga Aguirre (Grupo de Oncología Pediátrica. Instituto Investigación Sanitaria Biocruces Bizkaia. Servicio Oncología Pediátrica. Hospital Universitario Cruces, Barakaldo. Departamento de Pediatría. Universidad del País Vasco, UPV/EHU, Leioa, España)

1 Objetivos/ Metas

El pronóstico de la leucemia linfoblástica aguda, el cáncer más frecuente en edad pediátrica, ha mejorado, pero todavía el 10-20% de los pacientes sufren recaídas. La estratificación en grupos de riesgo ha avanzado gracias a la genética y citometría de flujo. Sin embargo, falta identificar nuevos factores pronósticos y plantear aproximaciones distintas como la proteómica. Objetivo: comparar el proteoma sérico de individuos sanos con el de pacientes pediátricos diagnosticados de leucemia linfoblástica aguda de precursores B (LLA-B) para establecer marcadores de diagnóstico. Asimismo, planteamos analizar como varía el proteoma a lo largo de la enfermedad para establecer marcadores de monitorización.

2 Material y Métodos/ Material e métodos

Se realizó un estudio proteómico mediante cromatografía acoplada a espectrometría de masas del suero deplecionado de pacientes pediátricos diagnosticados de LLA-B tanto en el día 0 como a lo largo de la enfermedad (día +15, +33, +78) y se comparó con el de niños sanos. Posteriormente se validó una proteína diferencialmente expresada (SAA-1) mediante técnica de ELISA. El estudio bioinformático se llevó a cabo mediante Gene Ontology y DAVID. El análisis estadístico se realizó mediante SPSS y Graphpad

3 Resultados

Se analizó el suero de 18 niños diagnosticados de LLA-B (mediana edad:6,48 años; sexo: 9M/9H) y 16 individuos sanos (mediana edad: 7,32 años; sexo:9M/7H). Los resultados de proteómica revelaron 105 proteínas diferencialmente expresadas (PDE) cuando se comparó el proteoma de los individuos sanos con el de los pacientes al diagnóstico (marcadores potenciales de diagnóstico). De ellas, 22 no revirtieron al valor inicial en ningún momento durante la monitorización. Sin embargo, 85 se normalizaron a lo largo de la enfermedad (marcadores potenciales de monitorización): 42 de forma temprana (días+15), 12 intermedia (día+33) y 29 tardía (día+78). Los estudios bioinformáticos revelaron que la mayoría de las PDE estaban relacionadas con el sistema inmune, coagulación y adhesión celular, entre otros. Finalmente, SAA-1 fue validada en una cohorte pequeña de pacientes (n=8), y se encontraron diferencias significativas entre las diferentes etapas de la enfermedad.

4 Conclusiones/ Conclusões

El estudio de proteómica reveló 105 PDE que pueden ser consideradas como marcadores potenciales de diagnóstico de la LLA-B. De ellas, 85 pudieran servir como marcadores de monitorización. Dentro de este conjunto de proteínas, SAA-1 parece que puede ser un marcador para diagnóstico y monitorización. Sin embargo, dada la gran cantidad de proteínas que se han identificado mediante proteómica, muchas de ellas no descritas previamente en relación a la LLA-B, se requerirán más estudios de validación en un futuro.



SEHOP
SOCIEDAD ESPAÑOLA
DE HEMATOLOGÍA Y ONCOLOGÍA
PEDIÁTRICAS

1^{ER} CONGRESO IBÉRICO DE HEMATOLOGIA Y ONCOLOGIA PEDIATRICAS

virtual

21 Y 23 SEPT 2021
28 Y 30 SEPT

C0138 PURPURA FULMINANS IDIOPÁTICA

Cristina Jiménez Cobo, M. A. Vázquez López (Hemato-Oncología Peidátrica, Hospital Materno Infantil Torrecárdenas, Almería, España), M.J. Granados Prieto (Hemato-Oncología Peidátrica, Hospital Materno Infantil Torrecárdenas, Almería, España), E. Rodríguez de la Cruz (Hemato-Oncología Peidátrica, Hospital Materno Infantil Torrecárdenas, Almería, España), A. Bartolomé Muñoz (Hemato-Oncología Peidátrica, Hospital Materno Infantil Torrecárdenas, Almería, España), C. Sánchez Ramírez (Hemato-Oncología Peidátrica, Hospital Materno Infantil Torrecárdenas, Almería, España), F. Lendinez Molinos (Hemato-Oncología Peidátrica, Hospital Materno Infantil Torrecárdenas, Almería, España)

1 Objetivos/ Metas

INTRODUCCIÓN

La púrpura fulminante (PF) se caracteriza por lesiones cutáneas purpuroequimóticas rápidamente progresivas con datos de coagulación intravascular diseminada. Puede ser de causa congénita, secundaria a una infección aguda o asociada a déficit transitorio autoinmune de proteína S. Ésta última se conoce como PF idiopática (PFI), afecta principalmente a niños y en la mayoría de casos, se precede de infección banal. Su reconocimiento temprano permite un diagnóstico y tratamiento precoz, pudiendo controlar la progresión de la enfermedad.

2 Material y Métodos/ Material e métodos

3 Resultados

CASO CLÍNICO

Varón de 2 años que acude por aparición de petequias en miembros inferiores y espalda con lesión purpúrica en región lumbar, plana, con centro necrótico de 10x7cm. No traumatismo ni antecedentes de enfermedades hematológicas. Hace dos semanas cuadro febril con exantema y edema de manos que precisó de corticoterapia. A la semana fiebre con descamación de palmas. En la exploración destaca aumento de las lesiones con aparición de dos de mayor tamaño en hueso popliteo derecho y muslo izquierdo. Ante la sospecha de púrpura fulminans se decide ingreso en UCIP para monitorización e inicio de antibioterapia empírica que se suspende a las 48 horas con cultivos negativos. En analítica al ingreso se evidencian tiempos de coagulación alargados, disminución del fibrinógeno y elevación del dímero D. Recuento plaquetario y fórmula leucocitaria normal, sin elevación de reactantes de fase aguda. Se determinó la actividad de proteína C (49%) y proteína S (10,7% con disminución máxima de 0.2%), iniciando transfusión de plasma fresco concentrado (PFC) y tratamiento con enoxaparina por déficit de proteína S. Al no estar disponibles, no fue posible determinar los valores de anticuerpos antiproteína S y C. Realizado estudio de coagulación a progenitores y hermano gemelo con resultado normal. Como complicación presentó a los 7 días de tratamiento una trombosis venosa profunda en femoral izquierda en zona de vía central. En total, precisó PFC durante 16 días y heparina de bajo peso molecular de forma indefinida presentando normalización progresiva de valores, encontrándose actualmente asintomático.

4 Conclusiones/ Conclusões

CONCLUSIONES:

La PFI es una patología de diversa etiología cuyo reconocimiento es de importancia para su identificación e inicio de tratamiento precoz. Se debe investigar el antecedente de infección, aunque su ausencia no excluye el diagnóstico. El déficit transitorio de proteína S apoya el diagnóstico siendo necesaria la presencia de anticuerpos antiproteína S para la confirmación. En la actualidad, no hay comercializado concentrado de Proteína S, planteando si su disponibilidad podría mejorar el resultado en estos pacientes.



SEHOP
SOCIEDAD ESPAÑOLA
DE HEMATOLOGÍA Y ONCOLOGÍA
PEDIÁTRICAS

1^{ER} CONGRESO IBÉRICO DE HEMATOLOGIA Y ONCOLOGIA PEDIATRICAS

virtual

21 Y 23 SEPT 2021
28 Y 30 SEPT

C0140 TUMORES DE CABEZA Y CUELLO EN LA EDAD PEDIATRICA. ESTUDIO EPIDEMIOLÓGICO DE UN HOSPITAL TERCIARIO

Miguel García Ariza, Paula Gonzalez Urdiales (Unidad de Hematología y Oncología Pediátrica. Hospital Universitario Cruces. IIS Biocruces Bizkaia. Barakaldo (Bizkaia). España), Laura Zaldumbide Dueñas (Servicio de Anatomía Patológica. Hospital Universitario Cruces. IIS Biocruces Bizkaia. Barakaldo (Bizkaia). España), Lorena Mosteiro Gonzalez (Servicio de Anatomía Patológica. Hospital Universitario Cruces. IIS Biocruces Bizkaia. Barakaldo (Bizkaia). España), Estibaliza Solorzano Rodriguez (Servicio de Cirugía Pediátrica. Hospital Universitario Cruces. Barakaldo (Bizkaia). España), Gloria Chocarro Amatriain (Servicio de Cirugía Pediátrica. Hospital Universitario Cruces. Barakaldo (Bizkaia). España), Itziar Tavera Bahillo (Servicio de Radiología. Hospital Universitario Cruces. Barakaldo (Bizkaia). España), Aizpea Echebarria Barona (Unidad de Hematología y Oncología Pediátrica. Hospital Universitario Cruces. IIS Biocruces Bizkaia. Barakaldo (Bizkaia). España)

1 Objetivos/ Metas

Los tumores de cabeza y cuello en la edad pediátrica representan aproximadamente un 10% de los diagnósticos según la literatura. Pueden incluir diferentes tipos de tumores, y los tratamientos son habitualmente muy variables, en función de la histología y localización. El objetivo de este estudio es evaluar los datos obtenidos en nuestro centro durante la última década.

2 Material y Métodos/ Material e métodos

Se revisaron todos los tumores sólidos valorados en la Unidad desde 2011 hasta la actualidad de pacientes menores de 18 años. Se seleccionaron casos cuyo tumor primario pertenecía a la región de cabeza y cuello, excluyendo los tumores de sistema nervioso central. Se recogieron características clínicas, del diagnóstico, tratamiento y evolución.

3 Resultados

Se revisaron un total de 563 casos, de los que 41 cumplían el criterio de tumor primario de cabeza y cuello (7,3%).

24 eran varones (59%). La mediana de edad fue de 9,4 años, con un rango de 0,84-18 años

Los diagnósticos más frecuentes fueron enfermedad de Hodgkin con 12 casos, un 29% (7 clásicos, 5 predominio linfocítico), linfoma no Hodgkin con 6, un 14,6% (3 Burkitt, 2 linfomas B y 1 linfoma anaplásico), rhabdomyosarcoma e histiocitosis con 3 casos cada uno, 7,3% y carcinoma nasofaríngeo con 2, 4,9%. Además, un caso de carcinoma de tiroides, neuroblastoma, schwannoma, condrosarcoma, y de otros diagnósticos menos habituales como PEComa, meningioma de células claras, tumor miofibroblástico inflamatorio, neurofibroma plexiforme, carcinoma basocelular, tumor neuroectodérmico pigmentado de la infancia, tumor fibromixóide osificante variante maligna y fibroma nucal.

La localización predominante fue cervical/cuello, en 22 casos (53%), y después cara/base de cráneo con 12 (29,2%) y cuero cabelludo/cráneo con 6 (14,6%)

Los casos de predisposición genética fueron 3 (7,3%), un caso de neurofibromatosis tipo 1 en neurofibroma plexiforme, un síndrome Gardner en fibroma nucal y un síndrome de Gorlin en carcinoma basocelular.

Los tratamientos utilizados incluyeron cirugía, en 39 casos, 95% (19 biopsia, 17 resección completa), quimioterapia en 27 casos (65%) y radioterapia en 7 (17%), todos ellos focal, y uno de ellos utilizando radioterapia con protones.

De todos los casos, en el momento del estudio, un paciente había fallecido, con neuroblastoma.

4 Conclusiones/ Conclusões

En nuestra experiencia los diagnósticos histológicos de los tumores de cabeza y cuello son muy diversos, incluyendo hasta en un tercio de los casos tumores muy infrecuentes. Esto hace fundamental y complejo un correcto diagnóstico histológico, para ajustar los tratamientos necesarios. Algunos diagnósticos pueden asociar síndromes de predisposición genética al cáncer, que deben analizarse.



SEHOP
SOCIEDAD ESPAÑOLA
DE HEMATOLOGÍA Y ONCOLOGÍA
PEDIÁTRICAS

1^{ER} CONGRESO IBÉRICO DE HEMATOLOGIA Y ONCOLOGIA PEDIATRICAS

virtual

21 Y 23 SEPT 2021
28 Y 30 SEPT

C0141 DREPANOCITOSIS: PATOLOGIA EMERGENTE DE DIFICIL MANEJO

Eduardo Rodríguez de la Cruz, M. A. Vázquez López (Hemato-Oncología Pediátrica, Hospital Materno Infantil Torrecárdenas, Almería, España), C. Jiménez Cobo (Hemato-Oncología Pediátrica, Hospital Materno Infantil Torrecárdenas, Almería, España), M.J. Granados Prieto (Hemato-Oncología Pediátrica, Hospital Materno Infantil Torrecárdenas, Almería, España), A. Bartolomé Muñoz (Hemato-Oncología Pediátrica, Hospital Materno Infantil Torrecárdenas, Almería, España), C. Sánchez Ramírez (Hemato-Oncología Pediátrica, Hospital Materno Infantil Torrecárdenas, Almería, España), F. Lendínez Molinos (Hemato-Oncología Pediátrica, Hospital Materno Infantil Torrecárdenas, Almería, España)

1 Objetivos/ Metas

La drepanocitosis es considerada una patología emergente derivada del incremento de la inmigración en los últimos años. Constituye una enfermedad multisistémica con un amplio rango de expresión y severidad, lo que unido a los problemas socio-económicos y culturales, dificulta el seguimiento de dichos pacientes. La existencia de una Guía de Práctica Clínica de la SEHOP actualizada, ha contribuido al manejo de las diferentes manifestaciones clínicas.

OBJETIVO

Conocer las características clínicas, complicaciones y evolución de los pacientes pediátricos con drepanocitosis atendidos en nuestro centro.

2 Material y Métodos/ Material e métodos

MATERIAL Y METODO

Estudio descriptivo basado en la revisión de las historias clínicas de los pacientes pediátricos diagnosticados de drepanocitosis en nuestro centro en los últimos 13 años. Se recogen las características clínicas y analíticas, necesidad transfusional, complicaciones y evolución de los enfermos.

3 Resultados

RESULTADOS

Se han incluido 93 pacientes, de ellos el 70% correspondieron a rasgo falciforme, el 13% homocigotos y otro 17% doble heterocigoto para beta-talasemia. Entre los homocigotos, la media de seguimiento fue de 5,25±3,5 años, entre las causas del primer ingreso destacan la derivación por crisis vasooclusiva (25%) y crisis hemolítica (25%), seguido de sospecha de drepanocitosis (25%), estudio de anemia (16,6%), y crisis aplásica (8,3%). El 75% de los homocigotos requirieron ingreso hospitalario con una media de 6,5 ocasiones. Entre las complicaciones, el 41% presentaron crisis hemolíticas con necesidad transfusional (media de transfusiones: 4), el 75% presentaron crisis vaso-oclusivas abdominales y en miembros precisando perfusión de mórficos. El síndrome torácico agudo y la hipertensión pulmonar se presentaron en un 33,3%. Sólo un paciente presentó osteomielitis y otro fue esplenectomizado por hiperesplenismo. Ocho pacientes (66,6%) presentaron alguna infección siendo el principal diagnóstico fiebre sin foco (33,3%) y un paciente presentó secuestro esplénico. No hemos registrado accidentes cerebro-vasculares ni patología renal. Actualmente solo un paciente presenta lesiones isquémicas en la RMN cerebral, en la ecografía doppler cerebral 6 pacientes (41%) presentan una velocidad patológica (>200). Con respecto al tratamiento, el 100% reciben tratamiento con ácido fólico y penicilina. El 75% recibe hidroxiurea, iniciado en un 33,3% por presentar crisis hemolíticas.

4 Conclusiones/ Conclusões

CONCLUSIONES

La diversidad del espectro clínico de la drepanocitosis requiere un seguimiento estrecho y un abordaje multidisciplinar, sobre todo en pacientes homocigotos o dobles heterocigotos. La problemática social y económica aumenta el absentismo y dificulta el adecuado seguimiento, por lo que es importante complementar la asistencia hospitalaria con un adecuado soporte desde atención primaria. Destacar el screening como método de diagnóstico precoz en nuestro país.



SEHOP
SOCIEDAD ESPAÑOLA
DE HEMATOLOGÍA Y ONCOLOGÍA
PEDIÁTRICAS

SOCIEDADE DE HEMATOLOGIA
E ONCOLOGIA PEDIATRICA
DA SOCIEDADE PORTUGUESA DE PEDIATRIA

1^{ER} CONGRESO IBÉRICO DE HEMATOLOGIA Y ONCOLOGIA PEDIATRICAS

virtual

21 Y 23 SEPT 2021
28 Y 30 SEPT

C0143 BÚSQUEDA DE NUEVOS MARCADORES PARA EL DIAGNÓSTICO DE INFECCIONES GRAVES EN NIÑOS Y ADOLESCENTES CON CÁNCER

Susana García Obregon, Irati Rekondo Izaguirre (Grupo Oncología Pediátrica. Instituto Investigación Sanitaria Biocruces Bizkaia, Barakaldo, España), Francisco Javier Pilar Orive (Servicio UCIP. Hospital Universitario Cruces, Barakaldo, España), Ricardo Lopez Almaraz (Grupo de Oncología Pediátrica. Instituto Investigación Sanitaria Biocruces Bizkaia, Servicio Oncología Pediátrica. Hospital Universitario Cruces, Barakaldo, España), Mikel Azkargorta Mugica (Proteomics Platform, CIC bioGUNE, Basque Research and Technology Alliance (BRTA), CIBERehd, ProteoRed-ISCIII, Derio, España), Felix Elortza Basterrika (Proteomics Platform, CIC bioGUNE, Basque Research and Technology Alliance (BRTA), CIBERehd, ProteoRed-ISCIII, Derio, España), Piedad Alba Pavon (Grupo Oncología Pediátrica. Instituto Investigación Sanitaria Biocruces Bizkaia, Barakaldo, España), Itziar Astigarraga Aguirre (Grupo de Oncología Pediátrica. Instituto Investigación Sanitaria Biocruces Bizkaia. Servicio Oncología Pediátrica. Hospital Universitario Cruces, Barakaldo. Departamento de Pediatría. Universidad del País Vasco, UPV/EHU, Leioa, España)

1 Objetivos/ Metas

Los pacientes oncológicos son susceptibles de padecer mayor número de infecciones debido tanto a la propia patología tumoral como a los tratamientos invasivos que precisan. Durante las últimas décadas, ha habido un gran desarrollo de las técnicas de proteómica aplicada a la clínica. Objetivo: análisis del perfil proteómico del suero de pacientes pediátricos oncológicos con sepsis graves y compararlo con el proteoma de niños diagnosticados de sepsis graves, pacientes oncológicos y niños sanos para establecer paneles de marcadores que faciliten la detección precoz de la respuesta inflamatoria asociada al desarrollo de disfunción orgánica grave, responsable de la mortalidad y secuelas que padecen muchos pacientes con infecciones graves, especialmente si padecen cáncer.

2 Material y Métodos/ Material e métodos

Estudio proteómico de suero deplecionado de pacientes pediátricos oncológicos con sepsis graves, pacientes oncológicos, sépticos graves y niños sanos mediante cromatografía líquida acoplada a espectrometría de masas. Posteriormente se validó una proteína diferencialmente expresada (PDE), SAA-1, y se analizaron 2 proteínas de inflamación (CD25s, CD163s) mediante técnica de ELISA. El análisis estadístico se realizó mediante SPSS y Graphpad

3 Resultados

Se analizó el proteoma sérico de pacientes pediátricos diagnosticados de sepsis graves (n=8), sepsis graves con enfermedad oncológica (n=6), enfermedad oncológica (n=6) e individuos sanos (n=8). Mediante los estudios de proteómica se encontraron 74 PDE de forma significativa entre los grupos de estudio: 16 PDE entre controles sanos y sépticos, 31 PDE entre oncológicos y sépticos oncológicos, 30 PDE entre controles oncológicos y sanos y 20PDE entre sépticos oncológicos y sépticos. Una misma proteína puede considerarse PDE en varios grupos. SAA1 fue validada mediante ELISA, y de forma preliminar se han podido observar diferencias significativas entre todos los grupos de estudio, siendo los sépticos los que muestran las mayores concentraciones. Por el contrario, CD25s mostró diferencias significativas entre la mayoría de los grupos y CD163 no presentó diferencias significativas.

4 Conclusiones/ Conclusões

Las técnicas de proteómica han resultado útiles en la identificación de PDE entre los grupos de estudio, revelando un total de 74 PDE que interesaría estudiar y validar. Concretamente, se han identificado 20 PDE entre pacientes oncológicos sépticos y sépticos no oncológicos. Sería importante analizar si alguna de estas proteínas es específica de pacientes oncológicos con infecciones graves. Nuestros resultados mostraron diferencias significativas en CD25 y SAA-1, pero CD163 no es un marcador relevante en estas patologías. Estos estudios preliminares deben ampliarse en un número mayor de muestras para avanzar en la identificación de proteínas para el diagnóstico precoz de sepsis grave.



SEHOP
SOCIEDAD ESPAÑOLA
DE HEMATOLOGÍA Y ONCOLOGÍA
PEDIÁTRICAS

1^{ER} CONGRESO IBÉRICO DE HEMATOLOGIA Y ONCOLOGIA PEDIATRICAS

virtual

21 Y 23 SEPT 2021
28 Y 30 SEPT

C0144 APLICACIÓN CLÍNICA DE LOS ESTUDIOS MOLECULARES EN SARCOMA DE EWING.

Piedad Alba Pavón (Grupo de Oncología Pediátrica, Instituto de Investigación Sanitaria Biocruces Bizkaia, Barakaldo, España), Aizpea Echebarria Barona, Olatz Villate Bejarano (Grupo de Investigación de Oncología Pediátrica. Instituto Investigación Sanitaria Biocruces Bizkaia, Barakaldo, Bizkaia, España), Lide Alaña Rodrigo (Grupo de Investigación de Oncología Pediátrica. Instituto Investigación Sanitaria Biocruces Bizkaia, Barakaldo, Bizkaia, España), Susana García Obregón (Grupo de Investigación de Oncología Pediátrica. Instituto Investigación Sanitaria Biocruces Bizkaia, Barakaldo, Bizkaia, España Departamento de Fisiología, Facultad de Medicina y Enfermería, Universidad del País Vasco, UPV/EHU, Leioa, Bizkaia, España), Laura Zaldumbide Dueñas (Servicio de Anatomía Patológica, Hospital Universitario Cruces. Barakaldo, Bizkaia, España), Lorena Mosteiro Gonzalez (Servicio de Anatomía Patológica, Hospital Universitario Cruces. Barakaldo, Bizkaia, España), Itziar Astigarraga Aguirre (Grupo de Investigación de Oncología Pediátrica. Instituto Investigación Sanitaria Biocruces Bizkaia, Barakaldo, Bizkaia, España Unidad de Hematología y Oncología Pediátrica. Servicio de Pediatría, Hospital Universitario Cruces. Barakaldo, Bizkaia, España)

1 Objetivos/ Metas

Los estudios moleculares constituyen una herramienta muy útil tanto en la búsqueda de dianas terapéuticas como en el diagnóstico de procesos malignos. Objetivo: Demostrar la aplicación de un panel de *Next-generation sequencing* (NGS) en sarcoma de Ewing como herramienta diagnóstica para el manejo clínico.

2 Material y Métodos/ Material e métodos

Caracterización molecular del sarcoma de Ewing mediante la técnica de NGS, utilizando el panel genómico *OncoPrint Childhood Cancer Research Assay*.

3 Resultados

Trece pacientes diagnosticados inicialmente de sarcoma de Ewing fueron incluidos en el estudio. Mediana de edad: 10.23 años (rango:0.6-14.4). Distribución por sexo: 6 mujeres/7 hombres. Localizaciones más frecuentes: paravertebral, pala iliaca y fémur. Tres pacientes presentaron metástasis al diagnóstico. Evolución: Tres pacientes recayeron y dos de ellos fallecieron. Ocho pacientes se encuentran libres de enfermedad, dos en tratamiento y uno con enfermedad estable.

El diagnóstico inicial de estos pacientes fue sarcoma de Ewing. Todos los pacientes presentaron reordenamiento de *EWSR1* mediante FISH excepto dos; uno diagnosticado como Sarcoma de Ewing-like y otro en el que el resultado no fue concluyente.

Se realizaron estudios genómicos en todos los pacientes. El reordenamiento de *EWSR1-FLI1* se identificó en 9 pacientes. Se identificó el reordenamiento *EWSR1-CREB1* en un paciente con sonda FISH para *EWSR1* positivo. El diagnóstico final fue Histiocitoma Fibroso Angiomatoide.

En la muestra del paciente en el que el FISH no fue concluyente se identificaron dos variantes patogénicas en *SMARCB1*. Tras la revisión en anatomía patológica se observó pérdida en INI-1. El diagnóstico definitivo fue tumor rabdoide de partes blandas. Se descartaron las variantes en línea germinal.

En la muestra del sarcoma Ewing-like se identificó un reordenamiento *BAG4-FGFR1* (1882 lecturas) y delección de las regiones cromosómicas 17p13.1 (*TP53*) y 10q23.31 (*PTEN*).

Además de la importancia en el diagnóstico, los paneles de NGS permiten identificar otras alteraciones genómicas que pueden servir como herramienta en el manejo de aquellos tumores de mal pronóstico. En este estudio, además de las alteraciones mencionadas, los genes más frecuentemente mutados fueron *CDKN2A*, *TP53* y *CCND1*.

4 Conclusiones/ Conclusões

Los paneles de NGS son una herramienta de gran utilidad en el diagnóstico de tumores pediátricos con características morfológicas de célula pequeña azul, como el sarcoma de Ewing. Los estudios de biología molecular deben ser complementarios a los estudios de morfología, inmunohistoquímica y FISH para obtener un diagnóstico más preciso, conocer la naturaleza del tumor e identificar dianas terapéuticas. La interpretación de los resultados requiere de equipos interdisciplinarios que favorezcan la implementación de la medicina de precisión.



SEHOP
SOCIEDAD ESPAÑOLA
DE HEMATOLOGÍA Y ONCOLOGÍA
PEDIÁTRICAS

1^{ER} CONGRESO IBÉRICO DE HEMATOLOGIA Y ONCOLOGIA PEDIATRICAS

virtual

21 Y 23 SEPT 2021
28 Y 30 SEPT

C0146 CARACTERIZACIÓN MOLECULAR DE TUMORES PEDIÁTRICOS MEDIANTE NGS: EXPERIENCIA DEL HOSPITAL INFANTIL UNIVERSITARIO NIÑO JESÚS

Elisa Izquierdo Delgado, Victoria Fioravanti Rassat (Hospital Universitario Niño Jesús, Servicio de Oncohematología, Unidad de OncoGenómica, Madrid, España), Jesús Viñas López (Hospital Universitario Niño Jesús, Servicio de Oncohematología, Unidad de OncoGenómica, Madrid, España), Alba Rubio San Simón (Hospital Universitario Niño Jesús, Servicio de Oncohematología, Unidad de Ensayos Clínicos, Madrid España.), Felisa Vázquez Gómez (Hospital Universitario Niño Jesús, Servicio de Oncohematología, Unidad de Tumores Cerebrales Madrid, España.), Teresa de Rojas de Pablo (Hospital Universitario Niño Jesús, Servicio de Oncohematología, Unidad de OncoGenómica, Madrid, España), Álvaro Lassaletta Atienza (Hospital Universitario Niño Jesús, Servicio de Oncohematología Unidad de Tumores Cerebrales Madrid, España), Francisco José Bautista Sirvent (Hospital Universitario Niño Jesús, Servicio de Oncohematología Unidad de Ensayos Clínicos, Madrid España)

1 Objetivos/ Metas

La integración de secuenciación masiva (NGS) en la práctica clínica de pacientes pediátricos oncológicos permite la identificación de biomarcadores diagnósticos, pronósticos y predictivos de respuesta/resistencia a terapias dirigidas. Se ha realizado una revisión de los resultados de NGS en el Hospital I.U Niño Jesús (HNJ) de los últimos cinco años con el objetivo de evaluar la metodología y la implicación de los hallazgos moleculares en el manejo clínico de los pacientes pediátricos oncológicos.

2 Material y Métodos/ Material e métodos

En el (HNJ) se han empleado diferentes métodos de secuenciación: 1) dos paneles comerciales de amplicones (OncoPrint Childhood Cancer Research Assay [ThermoFisher], de 203 genes, y GeneRead Comprehensive Cancer v2, [Qiagen], 160 genes); 2) secuenciación del exoma (en MAPPYACTS, COMIK y SPECTA-AYA); 3) otros estudios de metilación y secuenciación de ARN (SPECTA-AYA).

3 Resultados

Desde abril de 2016 hasta junio de 2021 se han secuenciado en el HNJ 166 muestras de tumor de 157 pacientes: 60 pacientes con tumor del sistema nervioso central, 18 leucemias agudas, 11 linfomas y 68 con otros tumores sólidos. 116/166 muestras eran de parafina, 28 de tumor congelado, 17 de médula ósea y 5 de la fase leucocitaria. Las tres plataformas más utilizadas fueron el panel de ThermoFisher (n=98/166), panel de QIAGEN (n=55/166) y la plataforma europea SPECTA-AYA (n=10/166). De las 166 muestras secuenciadas se encontraron alteraciones moleculares en el 62% (n=103/166). El 8.7% (n=9/166) de las muestras tuvieron calidad subóptima. Los genes más frecuentemente alterados fueron *BRAF*, *EWSR1*, *TP53*, *NRAS*, *KRAS*, *RB1* y *TSC2*.

4 Conclusiones/ Conclusões

La incorporación de NGS en nuestro centro ha permitido la caracterización molecular en pacientes pediátricos con cáncer, mejorando el manejo clínico gracias a la identificación de biomarcadores de diagnóstico, pronóstico, predictivos de respuesta y/o de síndromes de predisposición a cáncer (SPC). Sin embargo, la mayor parte de los pacientes fueron secuenciados mediante paneles comerciales, técnicas que tienen importantes limitaciones. Algunas de ellas son: la omisión de ciertos biomarcadores implicados en cáncer infantil (*STAG2*, *H1.1/3C*, *H2.3C*, *C19MC*, *MYB*, *MYBL1*, entre otros), falta de genes involucrados en SPC (*CHEK2*, *ATM*, *BRCA1/2*, *MSH2/3/6*, *PALB2*, *LZTR1*, *ELP1*, entre otros), además de la dificultad para detectar deleciones en importantes genes como *SMARCB1*, *SMARC4* o *CDKN2A/B*, entre otros. Por ello, se está implantando una nueva estrategia de medicina personalizada en nuestro centro, mediante un panel customizado de captura que detecta con mayor precisión y fiabilidad que los paneles comerciales las alteraciones involucradas en cáncer infantil en la línea germinal y somática.



SEHOP
SOCIEDAD ESPAÑOLA
DE HEMATOLOGÍA Y ONCOLOGÍA
PEDIÁTRICAS

1^{ER} CONGRESO IBÉRICO DE HEMATOLOGÍA Y ONCOLOGÍA PEDIÁTRICAS

virtual

21 Y 23 SEPT 2021
28 Y 30 SEPT

C0147 RESULTADOS DE SECUENCIACIÓN EN LÍNEA GERMINAL DE LOS PACIENTES TRATADOS EN EL S. DE ONCOLOGÍA DEL HOSPITAL NIÑO JESÚS (MADRID)

Victoria Fioravanti Rassat, Elisa Izquierdo Delgado (Unidad Oncogenómica, Servicio de Oncohematología, Hospital Infantil Universitario Niño Jesús (Madrid)), Jesús Viñas López (Unidad Oncogenómica, Servicio de Oncohematología, Hospital Infantil Universitario Niño Jesús (Madrid)), Nelmar Valentina Ortiz Cabrera (Servicio de Genética, Hospital Infantil Universitario Niño Jesús (Madrid)), Bárbara Fernández Garoz (Servicio de Genética, Hospital Infantil Universitario Niño Jesús (Madrid)), Felisa Vázquez Gómez (Unidad de tumores SNC, Servicio de Oncohematología, Hospital Infantil Universitario Niño Jesús (Madrid)), Manuel Ramírez Orellana (Servicio de Oncohematología, Hospital Infantil Universitario Niño Jesús (Madrid)), Luis Madero López (Servicio de Oncohematología, Hospital Infantil Universitario Niño Jesús (Madrid))

1 Objetivos/ Metas

La prevalencia de síndromes de predisposición al cáncer (SPC) entre los pacientes pediátricos ha sido considerada clásicamente muy baja (~5%). Sin embargo, en los últimos años se ha producido un importante avance y generalización de las pruebas de secuenciación masiva y se ha demostrado que la prevalencia de SPC en pediatría es de en torno al 10%. Desde que se incluyeron análisis moleculares como parte de los estudios de rutina para los pacientes diagnosticados en nuestro servicio, se ha aumentado la detección de casos de SPC.

2 Material y Métodos/ Material e métodos

Se creó una consulta monográfica de cáncer hereditario en el Servicio de Oncología del Hospital Infantil Universitario Niño Jesús (Madrid) para centralizar el diagnóstico y seguimiento de los pacientes con SPC. Se ha realizado un análisis retrospectivo descriptivo de los resultados de secuenciación en línea germinal de los pacientes tratados en nuestro servicio en los últimos 5 años.

3 Resultados

Desde abril de 2016 se ha llevado a cabo un estudio en línea germinal en un total de 78 pacientes, de los cuales 7 han sido diagnosticados de un SPC. Los pacientes se pueden dividir en dos grandes grupos. El primer grupo lo constituyen pacientes en los que se estudió la línea germinal como verificación al estudio de secuenciación del tumor. De ellos, 52 pacientes estudiados mediante el panel de 160 genes GeneRead Comprehensive Cancer v2(Qiagen) y 13 pacientes estudiados mediante plataformas más extensas que incluyen secuenciación del exoma incluyendo SPECTA-AYA, MAPPYACTS, y COMIK. El segundo grupo lo forman 13 pacientes en los que se hizo estudio en línea germinal por alta sospecha de SPC incluyendo: hallazgos en la secuenciación somática, historia familiar compatible o rasgos clínicos de sospecha (p.ej. tipo de tumor). De los siete pacientes diagnosticados con un SPC, seis de ellos pertenecen al segundo grupo. Según el tipo de SPC se clasifican de la siguiente manera: tres pacientes con Síndrome de Li-Fraumeni (*TP53*), un paciente con Retinoblastoma hereditario (*RB1*), un paciente con Síndrome de DICER (*DICER1*), un paciente con mutación en *BRCA1* y un paciente con síndrome de hamartoma tumoral (*PTEN*).

4 Conclusiones/ Conclusões

La sistematización de los estudios de secuenciación masiva en línea germinal de pacientes con cáncer en edad pediátrica y la formación de unidades específicas para SPC, aumenta la detección diagnóstica y optimiza el manejo de estos pacientes. Todos los pacientes diagnosticados de un SPC están en seguimiento especializado con realización periódica de examen físico y pruebas complementarias para detección precoz de tumores.



SEHOP
SOCIEDAD ESPAÑOLA
DE HEMATOLOGÍA Y ONCOLOGÍA
PEDIÁTRICAS

1^{ER} CONGRESO IBÉRICO DE HEMATOLOGIA Y ONCOLOGIA PEDIATRICAS

virtual

21 Y 23 SEPT 2021
28 Y 30 SEPT

C0148 VALORACIÓN PSICOLÓGICA DE LARGO SUPERVIVIENTES DE CÁNCER PEDIÁTRICO

Natalia Camarena Pavón, Blanca Herrero Velasco (Hospital Infantil Universitario Niño Jesús, Madrid, España), Elena Valero Herranz (Hospital Infantil Universitario Niño Jesús, Madrid, España), Ivonne Rincón Mantilla (Hospital Infantil Universitario Niño Jesús, Madrid España.), Luis Madero López (Hospital Infantil Universitario Niño Jesús, Madrid España), Melissa Trejos Maizón (Hospital Infantil Universitario Niño Jesús, Madrid España)

1 Objetivos/ Metas

Se pretende evaluar la situación psicológica de los supervivientes de cáncer infantil de la consulta de seguimiento a largo plazo del servicio de oncología del Hospital Infantil Universitario del Niño Jesús. Otro objetivo es determinar si existen diferencias psicológicas de los pacientes según su patología oncológica de base.

2 Material y Métodos/ Material e métodos

Es un estudio no experimental de tipo descriptivo, transversal y prospectivo realizado en la consulta de seguimiento a largo plazo del servicio de oncología pediátrica del hospital Infantil Universitario del Niño Jesús. El periodo de estudio está comprendido entre noviembre 2017 y febrero de 2020. Se han incluido en el estudio los pacientes que llevaban más de 5 años desde el diagnóstico y que se encuentran en remisión de su enfermedad de base.

La variable estudiada para los menores de 14 años fue la calidad de vida (Cuestionario PEDsQL). Las variables estudiadas para los mayores de 14 años: calidad de vida (Cuestionario de Salud SF36), autoestima (Escala de Rosenberg), apoyo social percibido (Cuestionario MOS), e información recibida (Cuestionario EORTC QLQ-INFO25).

3 Resultados

Se realizó valoración psicológica en 239 supervivientes, de los cuales 144 son mujeres (60,25%). La mediana (Me) de edad de los pacientes fue 17,81 años (rango 8,02-34,75). Ciento diez pacientes (46,02%) habían presentado una leucemia o linfoma, 71 (29,70%) un tumor cerebral y 59 (24,68%) otros tumores sólidos. Las puntuaciones globales en función de cada instrumento de evaluación: SF36: Me = 84 (27,3-99,11), Rosenberg: Me = 35 (14-40), MOS: Me = 86 (39-95), Info: Me = 55,32 (18,28-93,07).

En cuanto a las puntuaciones obtenidas por patología solo destacar las diferencias encontradas en las medianas del SF36; en leucemia y linfoma 85,77 (57,61-97,77) frente a puntuaciones más bajas en el caso de los tumores sólidos del sistema nervioso central 79,16 (27,33-93,44) y tumores sólidos 78,94 (32,6-99,11) aún sin presentar diferencias estadísticamente significativas. La moda en el ítem 43 del cuestionario de información fue de 1.

4 Conclusiones/ Conclusões

Los aspectos psicológicos de los supervivientes de un cáncer infantil deben ser evaluados en una consulta de seguimiento a largo plazo.

En nuestra serie, la puntuación en el cuestionario calidad de vida de los largos supervivientes está por encima de la media poblacional, así como las puntuaciones en autoestima (puntuación autoestima elevada), y apoyo social percibido. El cuestionario para valorar la cantidad y calidad de la información es el que tiene mayor margen de mejora dado que los pacientes puntúan entorno a la mitad del total.



SEHOP
SOCIEDAD ESPAÑOLA
DE HEMATOLOGÍA Y ONCOLOGÍA
PEDIÁTRICAS

1^{ER} CONGRESO IBÉRICO DE HEMATOLOGÍA Y ONCOLOGÍA PEDIÁTRICAS

virtual

21 Y 23 SEPT 2021
28 Y 30 SEPT

C0149 SÍNDROME DE GATA2 Y PERSISTENCIA HEREDITARIA DE LA HEMOGLOBINA FETAL. UNA NUEVA FAMILIA.

María Belén Moreno Risco, José Vicente Cervera Zamora (Servicio de Genética, Hospital Universitario La Fe, Valencia), María Dolores De la Maya Retamar (Servicio de Hematología, Complejo Hospitalario Universitario de Badajoz, Badajoz), Celia Crespo Núñez (Servicio de Hematología, Complejo Hospitalario Universitario de Badajoz, Badajoz), Fernando Javier Campano Val (Servicio de Hematología, Complejo Hospitalario Universitario de Badajoz, Badajoz), Fernando Ataulfo González Fernández (Servicio de Hematología, Hospital Clínico San Carlos, Madrid), Nieves Alonso Escobar (Servicio de Hematología, Complejo Hospitalario Universitario de Badajoz, Badajoz), José Manuel Vagace Valero (Servicio de Hematología, Complejo Hospitalario Universitario de Badajoz, Badajoz)

1 Objetivos/ Metas

El Síndrome GATA2 se debe a una mutación en el gen que codifica para este factor de transcripción, de herencia autosómica dominante (AD) caracterizado por disfunción de la célula madre hematopoyética y de la célula endotelial, que puede originar entre otras manifestaciones linfedema, proteinosis alveolar, trombosis, citopenias, infecciones (especialmente por virus del papiloma humano (VPH) y micobacterias) además de neoplasias hematológicas y tumores sólidos.

2 Material y Métodos/ Material e métodos

Una niña de 14 años en estudio por anemia macrocítica, con antecedentes personales de prematuridad y verrugas en manos y pies, fue estudiada en nuestro Hospital a raíz de una Gripe A con shock séptico y distrés respiratorio que requirió oxigenación extracorpórea en UCI complicada con trombosis de la vena cava inferior.

En los estudios complementarios destacaba una anemia macrocítica (Hb 7,5 g/dl, VCM 104 fL), leucopenia (2060/mm³) con monocitopenia (20/mm³) y plaquetas normales, un aumento de la Hb F: 8,5% y frotis de sangre periférica con intensa anisopoiquilocitosis y pseudopelguer. En el estudio familiar solo la madre presentaba estas mismas anomalías (su padre y hermano tenían un hemograma normal).

Test de fragilidad cromosómica negativo, Test de Kleinhauer con una distribución heterogénea de la HbF, estudio de trombofilia negativo e inmunoglobulinas normales. El inmunofenotipo en SP mostró un cociente CD4/8 reducido (0,87), con linfopenia B (1,88 %) y NK (0,72%). La biopsia de médula ósea (MO) fue hipocelular con displasia megacariocítica y el aspirado compatible con citopenia refractaria de la infancia (SMD con displasia multilineal). La citometría en MO mostró un bajo número de progenitores hematopoyéticos (CD34: 0,2%). El cariotipo fue normal 46 XX, así como la FISH para los reordenamientos asociados a SMD.

3 Resultados

En el estudio genético (NGS) la paciente era portadora en heterocigosis de la mutación c.1143+2T>A (NM_001145661.1) en línea germinal del gen GATA2. En el estudio de los genes gamma se detectó además una mutación T>C en el nucleótido 158 asociado a una Persistencia Hereditaria de la Hb Fetal (PHHF) tipo no delección. Ambas mutaciones presentes en la paciente y en su madre, no se habían descrito previamente pero se clasifican como patológicas en los programas informáticos predictores.

4 Conclusiones/ Conclusões

Las mutaciones patogénicas del gen GATA2 se asocian a inmunodeficiencia y fallo medular y requieren seguimiento hematológico ya que puede complicarse con una neoplasia mieloides hasta en el 70% de los casos. Presentamos una nueva familia que además heredó una PHHF, ambas de transmisión por línea materna y herencia autosómica dominante AD



SEHOP
SOCIEDAD ESPAÑOLA
DE HEMATOLOGÍA Y ONCOLOGÍA
PEDIÁTRICAS

1^{ER} CONGRESO IBÉRICO DE HEMATOLOGIA Y ONCOLOGIA PEDIATRICAS

virtual

21 Y 23 SEPT 2021
28 Y 30 SEPT

C0151 TUMOR DE WILMS EN 2 PACIENTES CON MRD21: ¿UNA ASOCIACIÓN CASUAL O UN NUEVO SÍNDROME DE PREDISPOSICIÓN A CÁNCER PEDIÁTRICO?

Teresa Tormo Alcañiz, Pablo Gargallo Tatay (Imegen, parte de Health in code group, Paterna, España), Francisco Martínez Castellano (Servicio de Genética, Hospital La Fe, 46026, Valencia, España.), Silvestre Oltra Soler (Servicio de Genética, Hospital La Fe, 46026, Valencia, España.), Jaime Font de Mora (Laboratorio de biología molecular, investigación clínica y traslacional en cáncer, Instituto de Investigación Sanitaria La Fe, 46026 Valencia, España.), María Tasso Cereceda (Oncología Pediátrica, Hospital General de Alicante, 03010, Alicante, España.), Julia Balaguer Guill (Oncología Pediátrica, Hospital la Fe, 46026, Valencia, España), Adela Cañete Nieto (Oncología Pediátrica, Hospital la Fe, 46026, Valencia, España)

1 Objetivos/ Metas

La presencia de un tumor maligno en la edad pediátrica asociado a malformaciones congénitas es criterio de valorar al paciente desde un punto de vista genético. El objetivo del presente trabajo fue categorizar la etiología genética en 2 pacientes con tumor de Wilms y malformaciones congénitas asociadas.

2 Material y Métodos/ Material e métodos

Paciente 1: Varón de 2 años diagnosticado de tumor de Wilms bilateral. Fenotipo: desarrollo intelectual en el límite bajo de la normalidad, criptorquidia bilateral, foramen oval permeable, dismorfias faciales menores (frente prominente, filtrum largo y labio superior delgado). Se estudió una muestra sanguínea del paciente libre de infiltración tumoral mediante panel NGS (NGS panel was Pediatric-OncoPanelDx (Imegen)).

Paciente 2: Varón de 20 años, diagnosticado a los 5 años de tumor de Wilms derecho. Fenotipo: capacidad intelectual en límite bajo de la normalidad, fisura palatina ósea aislada congénita intervenida en la época de lactante. Apéndices preauriculares, apéndice cervical izquierdo y supraclavicular derecho. Se estudió una muestra sanguínea del paciente mediante exoma clínico (Focused Exome v2).

3 Resultados

Paciente 1:

Se identificó en heterocigosis la variante probablemente patógena *CTCF* c.1337-T>A (p. I446K) (NM_006565.4) con una frecuencia alélica del 50%. Esta variante fue confirmada en homocigosis tanto en ADN como ARN tumoral. El estudio de segregación familiar confirmó que la variante ocurrió *de novo* en el paciente. La detección de esta variante en el contexto clínico del paciente, habiendo descartado adecuadamente otras entidades predisponentes a Wilms (BWS principalmente, incluyendo *CDKN1C*), nos condujo al diagnóstico de Retraso Mental Autosómico Dominante 21.

Paciente 2:

Se identificó en heterocigosis la variante probablemente patogénica *CTCF* c.1015C>T (p.R339Q) (NM_006565.4). El estudio de segregación familiar se encuentra en curso y hasta la fecha no se han completado más estudios en el tumor del paciente. La variante y el cuadro clínico del paciente son compatibles con Retraso Mental Autosómico Dominante 21.

4 Conclusiones/ Conclusões

El retraso mental autosómico dominante 21, es una entidad asociada a mutaciones en *CTCF* descrita en 2013 por Gregor et al. Desde entonces, se han publicado cerca de 50 casos, siendo la serie más amplia de 39 pacientes (PMID: 31239556). El tumor de Wilms no se ha reportado como parte del fenotipo clínico hasta la fecha. Sin embargo, los dos pacientes aquí recogidos, presentan un cuadro clínico compatible con la entidad y han padecido tumor de Wilms. Con los datos disponibles hasta la fecha, parece probable que los pacientes con MRD21 presenten una incidencia de tumor de Wilms aumentada con respecto a la población general.



SEHOP
SOCIEDAD ESPAÑOLA
DE HEMATOLOGÍA Y ONCOLOGÍA
PEDIÁTRICAS

1^{ER} CONGRESO IBÉRICO DE HEMATOLOGIA Y ONCOLOGIA PEDIÁTRICAS

virtual

21 Y 23 SEPT 2021
28 Y 30 SEPT

C0152 MANEJO DE LAS COMPLICACIONES AGUDAS DE LA DREPANOCITOSIS: 11 AÑOS DE EXPERIENCIA EN UN HOSPITAL TERCIARIO

Paula González Urdiales, Patricia Repáraz Goñi (Servicio de Pediatría, Hospital Universitario Cruces. Barakaldo, Bizkaia. España), Idoya Serrano Pegenaute¹ (Servicio de Pediatría, Hospital Universitario Cruces. Barakaldo, Bizkaia. España), Rosa María Adán Pedroso (Unidad de Hematología y Oncología Pediátricas. Servicio de Pediatría, Hospital Universitario Cruces. IIS Biocruces Bizkaia, Barakaldo, Bizkaia. España), Aizpea Echebarria Barona (Unidad de Hematología y Oncología Pediátricas. Servicio de Pediatría, Hospital Universitario Cruces. IIS Biocruces Bizkaia, Barakaldo, Bizkaia. España), Ricardo López Almaraz (Unidad de Hematología y Oncología Pediátricas. Servicio de Pediatría, Hospital Universitario Cruces. IIS Biocruces Bizkaia, Barakaldo, Bizkaia. España), Miguel García Ariza (Unidad de Hematología y Oncología Pediátricas. Servicio de Pediatría, Hospital Universitario Cruces. IIS Biocruces Bizkaia, Barakaldo, Bizkaia. España), Itziar Astigarraga Aguirre (Unidad de Hematología y Oncología Pediátricas. Servicio de Pediatría, Hospital Universitario Cruces. IIS Biocruces Bizkaia, Barakaldo, Bizkaia. España)

1 Objetivos/ Metas

Analizar las características y el manejo de los pacientes con drepanocitosis que precisan ingreso hospitalario por complicaciones agudas.

2 Material y Métodos/ Material e métodos

Estudio descriptivo y retrospectivo de los ingresos por complicaciones agudas de los pacientes menores de 16 años diagnosticados de drepanocitosis en un hospital terciario entre 2010 y 2020. Se revisaron los datos clínicos, analíticos y radiológicos.

3 Resultados

Durante el periodo del estudio, se registraron 71 ingresos en un total de 25 pacientes. Se observó un incremento progresivo de las complicaciones de drepanocitosis como motivo de ingreso hospitalario durante estos años. El 40% habían sido diagnosticados por cribado neonatal. Los diagnósticos más frecuentes fueron crisis vasooclusiva (CVO) (35,2%), síndrome febril (33,8%), síndrome torácico agudo (32,3%) y secuestro esplénico (5,6%). La mediana de edad del primer ingreso fue de 1,7 años. Los secuestrados esplénicos ocurrieron en edades más tempranas que el resto de los diagnósticos (1,7 años vs 5,9 años; $p=0,02$) mientras que las CVO ocurrieron en niños de mayor edad (8,8 años vs 4,0 años; $p<0,001$). Nueve episodios (12,6%) precisaron ingreso en cuidados intensivos pediátricos, siendo el principal motivo la CVO grave definida por datos asociados de síndrome torácico agudo, infección o dolor refractario (55,5%). En 20 ingresos se obtuvo documentación microbiológica (28,2%), siendo las bacterias los gérmenes más frecuentemente aislados (60%). Los virus respiratorios fueron una causa importante de síndrome torácico agudo. Un paciente requirió ingreso por neumonía bilateral por SARS-CoV2 y presentó buena respuesta al tratamiento. En el 86% de los ingresos se administró antibioterapia y el 28% precisaron analgesia con opioides y oxigenoterapia suplementaria. Previo al ingreso, en el 89% se cumplía la pauta de vacunación adecuada y un 41% recibían hidroxiurea. No se registró ningún ictus ni fallecimiento.

4 Conclusiones/ Conclusões

Los pacientes diagnosticados de drepanocitosis presentan un riesgo elevado de complicaciones agudas graves que precisan ingreso hospitalario, en ocasiones en unidades de críticos. Los motivos de ingreso más habituales son las CVO y los síndromes febriles. La utilización de antibioterapia y opioides es elevada. La prevención de las complicaciones es difícil y el manejo hospitalario es complejo, por el amplio diagnóstico diferencial de la clínica de dolor, disnea y fiebre. El diagnóstico precoz facilita el reconocimiento de complicaciones de riesgo vital como el síndrome torácico agudo y el secuestro esplénico.



SEHOP
SOCIEDAD ESPAÑOLA
DE HEMATOLOGÍA Y ONCOLOGÍA
PEDIÁTRICAS

1^{ER} CONGRESO IBÉRICO DE HEMATOLOGÍA Y ONCOLOGÍA PEDIÁTRICAS

virtual

21 Y 23 SEPT 2021
28 Y 30 SEPT

C0153 ATENCIÓN A ADOLESCENTES CON CÁNCER EN UNIDADES DE ONCOLOGÍA PEDIÁTRICA.

Paula González Urdiales, Aizpea Echebarria Barona (Unidad de Hematología y Oncología Pediátricas. Servicio de Pediatría, Hospital Universitario Cruces. IIS Biocruces Bizkaia, Barakaldo, Bizkaia. España), Ricardo López Almaraz (Unidad de Hematología y Oncología Pediátricas. Servicio de Pediatría, Hospital Universitario Cruces. IIS Biocruces Bizkaia, Barakaldo, Bizkaia. España), Beatriz Tarabini-Castellani Ciordia (Unidad de Hematología y Oncología Pediátricas. Servicio de Pediatría, Hospital Universitario Donostia. IIS Biodonostia, San Sebastián, Gipuzkoa. España), José Javier Uriz Monaut (Unidad de Hematología y Oncología Pediátricas. Servicio de Pediatría, Hospital Universitario Donostia. IIS Biodonostia, San Sebastián, Gipuzkoa. España), Nagore García de Andoin Barandiaran (Unidad de Hematología y Oncología Pediátricas. Servicio de Pediatría, Hospital Universitario Donostia. IIS Biodonostia, Departamento de Pediatría. Universidad del País Vasco (UPV/EHU). San Sebastián, Gipuzkoa. España), Laura Ferreira Freire (Servicio de Oncología Médica, Hospital Universitario Lucas Augusti. Lugo, España), Itziar Astigarraga Aguirre (Unidad de Hematología y Oncología Pediátricas. Servicio de Pediatría, Hospital Universitario Cruces. IIS Biocruces Bizkaia, Departamento de Pediatría. Universidad del País Vasco (UPV/EHU). Barakaldo, Bizkaia. España)

1 Objetivos/ Metas

Analizar las características clínicas de los adolescentes diagnosticados de cáncer y tratados en centros públicos en el País Vasco.

2 Material y Métodos/ Material e métodos

Estudio observacional retrospectivo de los adolescentes diagnosticados de cáncer desde enero de 2017 a diciembre de 2020, con edades comprendidas entre los 14 y 18 años en el momento del debut. Se han analizado datos epidemiológicos, tipos tumorales, extensión y tratamientos de los pacientes, mediante la revisión de la historia clínica informatizada.

3 Resultados

Durante estos cuatro años, 56 adolescentes fueron diagnosticados de cáncer en centros públicos del País Vasco. La media de edad al diagnóstico fue de 14.9 años, sin encontrarse diferencias entre ambos sexos (27 varones, 48.2% vs. 29 mujeres, 51.7%). Los tipos tumorales más frecuentes en esta franja etaria fueron las leucemias (13 casos, 23.2%) fundamentalmente de estirpe linfoblástica (12 casos); y los linfomas (12 casos, 21.4%), tanto Hodgkin (8 pacientes) como no Hodgkin. Los restantes diagnósticos incluyeron: sarcomas óseos o de partes blandas no rhabdomyosarcomas (10 pacientes, 17.8%); tumores cerebrales (8 casos: 3 de bajo grado y 5 de alto grado), carcinomas de tiroides (5), tumores de células germinales (3); carcinomas (de células renales, nasofaríngeo y hepatocarcinoma, 3) y melanoma (2). Al diagnóstico, 4 pacientes con tumores sólidos presentaron metástasis (12.9%). El servicio responsable del tratamiento de los adolescentes fue Oncología Pediátrica en el 73.2%. En el 23.2% de los pacientes (n=13) la cirugía fue el único tratamiento recibido. Un total de 37 pacientes recibieron tratamiento con quimioterapia (66.1%), en 15 de ellos como terapia adyuvante. Un 23.2% (13 pacientes) precisó radioterapia y el 14.2% recibió tratamiento multimodal con cirugía, radioterapia y quimioterapia. Con una mediana de seguimiento de 15 meses, fallecieron cuatro pacientes (7.1%).

4 Conclusiones/ Conclusões

En los adolescentes, los tumores más frecuentes son las neoplasias hematológicas seguidas de tumores propios de adultos jóvenes (sarcomas y tumores cerebrales). Existe un mayor número de pacientes con tumores sólidos tratados exclusivamente con cirugía, en comparación con los tumores sólidos pediátricos, y su manejo quirúrgico suele realizarse en equipos de adultos. La atención integral e interdisciplinar que se realiza en las unidades pediátricas puede beneficiar



SEHOP
SOCIEDAD ESPAÑOLA
DE HEMATOLOGÍA Y ONCOLOGÍA
PEDIÁTRICAS

SOCIEDADE DE HEMATOLOGIA
E ONCOLOGIA PEDIATRICA
DA SOCIEDADE PORTUGUESA DE PEDIATRIA

1^{ER} CONGRESO IBÉRICO DE HEMATOLOGIA Y ONCOLOGIA PEDIATRICAS

virtual

21 Y 23 SEPT 2021
28 Y 30 SEPT

C0154 PÚRPURA TROMBÓTICA TROMBOCITOPÉNICA: A PROPÓSITO DE UN CASO

Verónica Fernández Escobar, María Eli Valerio Alonso (Unidad de cuidados paliativos y atención domiciliaria. Hospital General Universitario Alicante. Alicante . España), María del Pozo Carlavilla (Oncohematología Infantil. Complejo Hospitalario Universitario Albacete. Albacete. España), María Isabel Buedo Rubio (Oncohematología infantil. Complejo Hospitalario Universitario Albacete. Albacete. España)

1 Objetivos/ Metas

Microangiopatía trombótica (MAT) define una lesión histológica de arteriolas y capilares con engrosamiento e inflamación de la pared vascular, desprendimiento de células endoteliales, y presencia de trombos plaquetarios que tiene como consecuencia anemia hemolítica microangiopática no inmune y trombocitopenia. Existen dos entidades clínicas con lesiones de MAT primaria: púrpura trombótica trombocitopénica (PTT) y síndrome hemolítico urémico.

La PTT es consecuencia de la deficiencia de la actividad metaloproteasa de ADAMTS13, que puede ser congénita o adquirida (anticuerpos IgG que bloquean ADAMTS13). La forma congénita es mucho menos frecuente, actualmente se han descrito alrededor de 100 casos (incidencia anual < 1/1.000.000). Presentamos un caso con el objetivo de dar a conocer esta rara patología.

2 Material y Métodos/ Material e métodos

Revisión bibliográfica y actualización en el manejo de PTT a raíz de un caso

3 Resultados

Lactante de 8 meses que ingresa en hospital de origen por sospecha de sepsis de origen urinario. Presentaba fiebre y hematuria de 24 horas de evolución con afectación del estado general y palidez cutánea. En analítica destaca anemia (Hb 9.6 g/dl), trombopenia (18.000 plaquetas), LDH elevada (3908U/L), hiperbilirrubina (2.5mg/dl) a expensas de fracción indirecta y tira de orina con leucocitos, hematíes y nitritos positivos. Se inicia cefotaxima intravenosa y se traslada a nuestro centro.

Como antecedentes destaca un ingreso a las 12 horas de vida por ictericia no inmune que precisó exanguinotransfusión, asociando trombopenia con estudio básico de hiperbilirrubinemia neonatal normal.

En nuestro centro se completa estudio, evidenciando 6% de esquistocitos en extensión de sangre periférica, sedimento de orina estéril con hematuria y proteinuria en rango nefrótico, con urocultivo y hemocultivo negativos, así como PCR positiva para Gripe A.

Ante sospecha de MAT se valoró inicio de plasmaféresis, que no tolera, por lo que se iniciaron transfusiones de plasma con buena respuesta y resolución progresiva de la trombopenia, así como de la hemólisis. Tras conocer resultado de actividad plasmática de ADAMTS13 de 0%, con anticuerpos anti-ADAMTS13 negativos, se diagnostica de PTT congénita, continuando con transfusiones de plasma periódicas (cada 14 días) con buena evolución. Actualmente pendiente de estudio genético para valorar inclusión en ensayo clínico con ADAMTS13 recombinante.

4 Conclusiones/ Conclusões

La PTT congénita es una forma rara de MAT cuyo tratamiento se considera una emergencia médica por su alta mortalidad. Además, tiene una alta tasa de recidivas y recaídas por lo que es esencial un manejo multidisciplinar y una alta sospecha precoz para asegurar una atención de calidad en estos pacientes.



SEHOP
SOCIEDAD ESPAÑOLA
DE HEMATOLOGÍA Y ONCOLOGÍA
PEDIÁTRICAS

SOCIEDADE DE HEMATOLOGIA
E ONCOLOGIA PEDIATRICA
DA SOCIEDADE PORTUGUESA DE PEDIATRIA

1^{ER} CONGRESO IBÉRICO DE HEMATOLOGIA Y ONCOLOGIA PEDIATRICAS

virtual

21 Y 23 SEPT 2021
28 Y 30 SEPT

C0155 INFECCIONES EN PACIENTES ONCOLÓGICOS PEDIÁTRICOS CON PROFILAXIS ANTIBIÓTICA

Paula González Urdiales, Zaloa Gorostizaga Gomez (Servicio de Pediatría, Hospital Universitario Cruces. Barakaldo, Bizkaia. España), Jimena de Pedro Olabarrí (Unidad de Hematología y Oncología Pediátricas. Servicio de Pediatría, Hospital Universitario Cruces. IIS Biocruces Bizkaia, Barakaldo, Bizkaia. España), Itziar Astigarraga Aguirre (Unidad de Hematología y Oncología Pediátricas. Servicio de Pediatría, Hospital Universitario Cruces. IIS Biocruces Bizkaia, Departamento de Pediatría. Universidad del País Vasco UPV/EHU. Barakaldo, Bizkaia. España), Rosa Adán Pedrosa (Unidad de Hematología y Oncología Pediátricas. Servicio de Pediatría, Hospital Universitario Cruces. IIS Biocruces Bizkaia, Barakaldo, Bizkaia. España), Aizpea Echebarría Barona (Unidad de Hematología y Oncología Pediátricas. Servicio de Pediatría, Hospital Universitario Cruces. IIS Biocruces Bizkaia, Barakaldo, Bizkaia. España), Miguel García Ariza (Unidad de Hematología y Oncología Pediátricas. Servicio de Pediatría, Hospital Universitario Cruces. IIS Biocruces Bizkaia, Barakaldo, Bizkaia. España), Ricardo Lopez Almaraz (Unidad de Hematología y Oncología Pediátricas. Servicio de Pediatría, Hospital Universitario Cruces. IIS Biocruces Bizkaia, Barakaldo, Bizkaia. España)

1 Objetivos/ Metas

Analizar las infecciones en pacientes oncológicos pediátricos que reciben profilaxis antibacteriana en un hospital terciario.

2 Material y Métodos/ Material e métodos

Estudio descriptivo retrospectivo unicéntrico de las infecciones en niños y adolescentes (0-18 años) con cáncer sometidos a profilaxis antibiótica, en los últimos 6 años (enero 2014-mayo 2021). Se analizaron datos epidemiológicos, clínicos y microbiológicos de los casos de neutropenia febril de la población estudiada.

3 Resultados

Treinta y seis pacientes recibieron profilaxis antibacteriana: todas las leucemias mieloblásticas agudas y aquellas leucemias linfoblásticas agudas (LLA) de alto riesgo tras ciclos de quimioterapia mielotóxica (17 pacientes; 48,6%) y las leucemias en recaída (17 casos, 13 LLA); tumores cerebrales de alto grado (2 meduloblastomas y 2 pinealoblastomas), un linfoma de Burkitt en recaída y un sarcoma de Ewing.

Se registraron 85 episodios de neutropenia febril en 33 pacientes. La profilaxis recibida previa a sus ingresos fue: combinación de quinolonas y amoxicilina (39; 45,8%), quinolona en monoterapia (38,8%; levofloxacino: 28 casos; 33%) y beta-lactámicos (15,3%), siendo cefepime en profilaxis (50 mg/Kg c/12h), el más empleado (9 casos).

En 49 episodios se comprobaron aislamientos microbiológicos (57,6%), la mayoría bacteriemias (36; 42,3%) fundamentalmente por bacterias gram positivas (BGP:23; 63,8%). Las bacterias más frecuentemente aisladas fueron *Staphylococcus coagulasa negativos* (12, 33,3%), *Escherichia coli* productor de betalactamasas (BLEE) (8, 22,2%) y *Streptococcus de grupo viridans* (7, 19,4%). El 20% requirieron ingreso en UCIP por presentar criterios de sepsis con una estancia media de 4,3 días, siendo *E. coli* BLEE (6; 35,3%) el microorganismo causal más frecuente. Otros gérmenes aislados fueron virus (14; 6,5%). Se observaron 5 episodios de IFI(5,9%): 2 candidemias y 3 aspergilosis (1 probable y 2 posibles). En 6 episodios se documentó colitis por *Clostridium difficile* toxigénico durante el ingreso o inmediatamente posterior al mismo. La colonización por bacterias BLEE se objetivó en 9 pacientes (25%). Ninguno falleció por infección intercurrente.

4 Conclusiones/ Conclusões

En nuestra serie, la principal causa de infección documentada en pacientes con profilaxis antibiótica es la bacteriana, fundamentalmente por BGP no cubiertas con la profilaxis empleada y por BGN BLEE, resistentes a la profilaxis. Como efectos colaterales, en solo un 7% de los episodios se documentó colitis por *C. difficile*, si bien hasta un 25% de los pacientes estaban colonizados por cepas productoras de betalactamasas.



SEHOP
SOCIEDAD ESPAÑOLA
DE HEMATOLOGÍA Y ONCOLOGÍA
PEDIÁTRICAS

1^{ER} CONGRESO IBÉRICO DE HEMATOLOGÍA Y ONCOLOGÍA PEDIÁTRICAS

virtual

21 Y 23 SEPT 2021
28 Y 30 SEPT

C0156 SECUELAS ORTOPÉDICAS EN PACIENTES DIAGNOSTICADOS DE SARCOMAS ÓSEOS DE EXTREMIDADES

Paula González Urdiales, Piedad Alba Pavon (Grupo de investigación de Oncología Pediátrica. IIS Biocruces Bizkaia, Barakaldo, Bizkaia. España), Aizpea Echebarria Barona (Unidad de Hematología y Oncología Pediátricas. Servicio de Pediatría, Hospital Universitario Cruces. IIS Biocruces Bizkaia, Barakaldo, Bizkaia. España), Josu Merino Pérez (Unidad de Tumores de Traumatología y Ortopedia. Servicio de Traumatología y Ortopedia, Hospital Universitario Cruces. Barakaldo, Bizkaia. España), Jimena de Pedro Olabari (Unidad de Hematología y Oncología Pediátricas. Servicio de Pediatría, Hospital Universitario Cruces. IIS Biocruces Bizkaia, Barakaldo, Bizkaia. España), Miguel García Ariza (Unidad de Hematología y Oncología Pediátricas. Servicio de Pediatría, Hospital Universitario Cruces. IIS Biocruces Bizkaia, Barakaldo, Bizkaia. España), Nerea Hernández González (Unidad de Tumores de Traumatología y Ortopedia. Servicio de Traumatología y Ortopedia, Hospital Universitario Cruces. Barakaldo, Bizkaia. España), Itziar Astigarraga Aguirre (Unidad de Hematología y Oncología Pediátricas. Servicio de Pediatría, Hospital Universitario Cruces. IIS Biocruces Bizkaia, Departamento de Pediatría. Universidad del País Vasco UPV/EHU. Barakaldo, Bizkaia. España)

1 Objetivos/ Metas

Describir las secuelas ortopédicas de pacientes diagnosticados de sarcomas óseos de extremidades.

2 Material y Métodos/ Material e métodos

Estudio observacional retrospectivo de pacientes menores de 18 años diagnosticados de sarcomas óseos en extremidades, entre enero de 2010 y diciembre de 2019. Revisión de historias clínicas y análisis de datos epidemiológicos, clínico-quirúrgicos, histológicos y evolutivos.

3 Resultados

Fueron diagnosticados 29 pacientes de sarcomas óseos localizados en extremidades, registrándose el fallecimiento de 12 (41.4%), secundario a su enfermedad de base. En la población superviviente (17), la edad media al diagnóstico fue 9.46 años, con predominio de varones (13, 76.5%). El diagnóstico más frecuente fue osteosarcoma (10, 58.8%) y el resto, sarcomas de Ewing (7, 41.1%). La localización más frecuente fue la extremidad inferior (12, 70.6%), concretamente la rodilla (8, 47%). Todos los pacientes recibieron tratamiento quimioterápico neoadyuvante, obteniendo buena respuesta histológica en 12 casos (70.6%). Dos pacientes recibieron radioterapia adyuvante como tratamiento local por sarcomas de Ewing.

El tratamiento quirúrgico permitió preservación de la extremidad en 16 pacientes (94.1%), siendo la técnica más empleada el aloinjerto de cadáver (7, 41.2%), seguido de prótesis tumoral (5, 29.4%) y autoinjerto peroneo (3, 17.6%). Cuatro pacientes presentaron complicaciones agudas tras la cirugía (fundamentalmente parálisis iatrogénica autolimitada). En un caso se optó por la amputación inicial.

La mayoría presentaron secuelas ortopédicas en distinto grado (15 pacientes, 88.2%) y recibieron seguimiento en Ortopedia infantil (17 casos, 100%) y Rehabilitación (10 casos, 58.8%). Las secuelas más frecuentes fueron: fracturas periprotésicas o secundarias a sobrecarga (8 pacientes, 47.1%); dismetría de extremidades inferiores (6 pacientes, 35.2%; 4 asociaban alteraciones de curvatura espinal) y la pseudoartrosis (5 pacientes, 29.4%). Complicaciones menos frecuentes fueron las infecciones de herida quirúrgica (3 casos, 17.6%) y de la prótesis (1 caso, que acabó en amputación); y, finalmente, diferentes grados de dolor y limitación de movilidad articular (precisando reintervención en 2 pacientes). Se registraron 23 intervenciones por motivos ortopédicos siendo el más frecuente las fracturas de material protésico o del injerto (10, 43.5%) y la pseudoartrosis (6, 26%).

4 Conclusiones/ Conclusões

Los pacientes supervivientes de sarcomas óseos de extremidades presentan una elevada frecuencia de secuelas ortopédicas que pueden limitar su calidad de vida. Las principales complicaciones son las fracturas, pseudoartrosis, dismetría e infecciones. La necesidad de reintervención quirúrgica es alta. El seguimiento a largo plazo y vigilancia de secuelas es importante para mejorar la atención y calidad de vida de estos pacientes.



SEHOP
SOCIEDAD ESPAÑOLA
DE HEMATOLOGÍA Y ONCOLOGÍA
PEDIÁTRICAS

1^{ER} CONGRESO IBÉRICO DE HEMATOLOGÍA Y ONCOLOGÍA PEDIÁTRICAS

virtual

21 Y 23 SEPT 2021
28 Y 30 SEPT

C0159 LEUCEMIA DEL LACTANTE: 30 AÑOS DE EXPERIENCIA EN UN CENTRO DE TERCER NIVEL

Bárbara M. Ochoa Fernández, Víctor Galán-Gómez (Servicio de Hemato-Oncología Pediátrica, Hospital Infantil Universitario La Paz), Pilar Guerra-García (Servicio de Hemato-Oncología Pediátrica, Hospital Infantil Universitario La Paz), Sonsoles San Román (Servicio de Hemato-Oncología Pediátrica, Hospital Infantil Universitario La Paz), Isabel Martínez Romera (Servicio de Hemato-Oncología Pediátrica, Hospital Infantil Universitario La Paz), Itsaso Losantos García (Sección de Bioestadística Hospital Universitario La Paz), Berta González Martínez (Servicio de Hemato-Oncología Pediátrica, Hospital Infantil Universitario La Paz), Antonio Pérez-Martínez (Servicio de Hemato-Oncología Pediátrica, Hospital Infantil Universitario La Paz)

1 Objetivos/ Metas

La leucemia del lactante representa una enfermedad infrecuente y de mal pronóstico, con características que la diferencian del resto de leucemias: incidencia similar de inmunofenotipo linfoide y mieloides, debut con hiperleucocitosis y el alto porcentaje de recaídas. Se han descrito factores de mal pronóstico como la hiperleucocitosis $>300.000/\text{mm}^3$, la edad menor de 6 meses y la existencia de reordenamientos del gen MLL.

El objetivo de este estudio es describir las características clínicas y la evolución de una cohorte de pacientes diagnosticados de leucemia del lactante durante el periodo 1990-2020 que recibieron tratamiento en el Servicio de Hemato-Oncología pediátrica de un hospital terciario.

2 Material y Métodos/ Material e métodos

Se realizó un estudio retrospectivo observacional en el que se incluyeron los pacientes menores de 1 año de edad diagnosticados de leucemia y tratados en nuestro centro en el periodo descrito.

3 Resultados

Se incluyeron un total de 39 pacientes. La edad media al diagnóstico fue de 5,5 meses (DE 3,5). Un 69,2% fueron leucemias linfoblásticas agudas (LLA), un 28,2% leucemias mieloblásticas agudas (LMA) y un 2,9% de inmunofenotipo mixto (IFM). La mediana de leucocitos al diagnóstico fue de 100.000 leuc/mm³ (RIQ: 297.000). De los pacientes con >300.000 leuc/mm³, un 90,9% fueron diagnosticados de LLA y un 9% de LMA. Se objetivó reordenamiento del gen MLL en un 59,5% de los pacientes (91% LLA y 9% en LMA). El 5% de los pacientes tuvieron infiltración de sistema nervioso central al diagnóstico. Un total de 14 (35,9%) pacientes sufrieron recaída y fallecieron un total de 19 pacientes (48,7%).

26 pacientes (66,6%) recibieron trasplante de progenitores hematopoyéticos (TPH) como consolidación. De ellos, 24 (92,3%) en primera remisión completa.

La supervivencia libre de eventos y la supervivencia global a los 5 años fueron respectivamente del 56,7% (DE 4,6) y del 44,9 % (DE 4,2). El TPH redujo el riesgo de mortalidad en 81,8% ($p=0,001$), presentando mayor supervivencia los pacientes trasplantados en primera remisión completa frente al resto ($p=0,002$).

4 Conclusiones/ Conclusões

La mayoría de las leucemias del lactante diagnosticadas en nuestro centro fueron LLA. A su vez, los principales factores de riesgo (hiperleucocitosis, MLL) se agruparon con mayor frecuencia en el grupo de pacientes con LLA, si bien esta diferencia no fue estadísticamente significativa.

La mayor parte de los pacientes recibió TPH, impactando de manera favorable en la supervivencia global, en especial, cuando fue realizado en primera remisión completa.



SEHOP
SOCIEDAD ESPAÑOLA
DE HEMATOLOGÍA Y ONCOLOGÍA
PEDIÁTRICAS

1^{ER} CONGRESO IBÉRICO DE HEMATOLOGÍA Y ONCOLOGÍA PEDIÁTRICAS

virtual

21 Y 23 SEPT 2021
28 Y 30 SEPT

C0160 HACIA LA OPTIMIZACIÓN DEL REGISTRO DE CÁNCER INFANTIL EN ESPAÑA: NUEVAS GUÍAS DE ESTADIFICACIÓN DEL CÁNCER INFANTIL.

Blanca Martínez de las Heras, Adela Cañete Nieto (Sección Oncohematología pediátrica, Hospital Universitario y Politécnico La Fe, Valencia, España), Ana Fernández-Teijeiro Álvarez (Unidad Oncohematología pediátrica, Hospital Universitario Virgen Macarena, Sevilla, España), Elena Pardo Romaguera (Universidad de Valencia, Valencia, España), Rafael Peris Bonet (Universidad de Valencia, Valencia, España), Grupo de Trabajo del Registro Español de Tumores Infantiles (WG-RETI) (Sociedad Española de Hematología y Oncología Pediátricas (SEHOP))

1 Objetivos/ Metas

Los registros de cáncer son imprescindibles para disponer del conocimiento epidemiológico en un país o área geográfica determinada y permitir así una adecuada planificación y atención sanitarias. Para poder realizar comparaciones de incidencia y supervivencia en el tiempo y con otros países es necesaria una estadificación estándar internacional común a todos los registros.

El Grupo de Trabajo del Registro Español de Tumores Infantiles (WG-RETI) de la Sociedad Española de Hematología y Oncología Pediátricas (SEHOP) en colaboración con la Universidad de Valencia (UV) y la SEHOP, presenta las "Childhood cancer staging for population registries according to the Toronto Childhood Cancer Stage Guidelines", by Aitken JF, et al, Cancer Council Queensland and Cancer Australia, 2017, traducidas al español como "Estadificación del cáncer infantil para registros de base poblacional", para su uso entre la comunidad científica de habla hispana.

2 Material y Métodos/ Material e métodos

Las Toronto Childhood Cancer Stage Guidelines en su versión original en inglés fueron elaboradas en 2014 por la Unión Internacional Contra el Cáncer (UICC), el Dana-Farber Cancer Institute y el Hospital for Sick Children de Toronto (SickKids), están avaladas por el proyecto factores pronósticos TNM (Tumor/Nódulo linfático/Metástasis) de la UICC, la Red Europea de Registros de Cáncer (ENCR) y la Asociación Internacional de Registros de Cáncer (IACR) y han sido incorporadas a la clasificación TNM. Cada miembro del WG-RETI tradujo 1-2 de los grupos/subgrupos diagnósticos de cáncer infantil.

3 Resultados

Acorde a las Toronto Childhood Cancer Stage Guidelines se han traducido al español los sistemas de extensión de la enfermedad al diagnóstico específicos que recomiendan para la Leucemia Linfoblástica Aguda, Leucemia Mieloide Aguda, Linfoma de Hodgkin, Linfoma no-Hodgkin, Neuroblastoma, Tumor de Wilms, Rabdomyosarcoma, Sarcomas de Tejidos Blandos no-Rabdomyosarcoma, Osteosarcoma, Sarcoma de Ewing, Retinoblastoma, Hepatoblastoma, Tumor de Células Germinales (Cáncer Testicular y Ovárico), Meduloblastoma y Ependimoma. La traducción es accesible mediante el DOI:10.7203/72724. En marzo y abril de 2021 se realizó el curso "Estadía de los tumores infantiles con las Guías de Toronto" en el marco de la Red Española de Registros de Cáncer REDECAN en el Instituto de Ciencias de la Salud de Talavera de la Reina.

4 Conclusiones/ Conclusões

La traducción al español de las Toronto Childhood Cancer Stage Guidelines permitirá la incorporación progresiva de un lenguaje internacional común en el estadio de los casos de cáncer infantil que se registren en el RETI. Su uso garantizará comparaciones significativas con otros países.



SEHOP
SOCIEDAD ESPAÑOLA
DE HEMATOLOGÍA Y ONCOLOGÍA
PEDIÁTRICAS

1^{ER} CONGRESO IBÉRICO DE HEMATOLOGIA Y ONCOLOGIA PEDIATRICAS

virtual

21 Y 23 SEPT 2021
28 Y 30 SEPT

C0162 PIRUVATE KINASE DEFICIENCY – AN ATYPICAL AND CHALLENGING CASE

Sofia Cochito Sousa, Catarina Salgado (Unidade de Hematologia Pediátrica, Departamento de Pediatria, Hospital de Santa Maria, Centro Hospitalar Universitário Lisboa Norte. Clínica Universitária de Pediatria, Faculdade de Medicina, Universidade de Lisboa.), Anabela Ferrão (Unidade de Hematologia Pediátrica, Departamento de Pediatria, Hospital de Santa Maria, Centro Hospitalar Universitário Lisboa Norte. Clínica Universitária de Pediatria, Faculdade de Medicina, Universidade de Lisboa.), Maria João Palaré (Unidade de Hematologia Pediátrica, Departamento de Pediatria, Hospital de Santa Maria, Centro Hospitalar Universitário Lisboa Norte. Clínica Universitária de Pediatria, Faculdade de Medicina, Universidade de Lisboa.)

1 Objetivos/ Metas

Pyruvate kinase (PK) deficiency is a rare erythrocyte enzyme disorder with high variability of presentation and severity. We present a 8-year-old girl with severe and rare manifestations.

2 Material y Métodos/ Material e métodos

3 Resultados

First child of a healthy 29-year-old mother, natural from Portugal, and a healthy father with African ancestry. It was an uncomplicated pregnancy, mother's blood A Rh+. She was born at full term by eutocic delivery with Apgar scores of 7 and 9 at 1 and 5 minutes. Birth measurements were all <3rd percentile. The newborn was pale and jaundiced, had normal heart rate, good peripheral perfusion, and polypnea without retractions.

Blood tests revealed severe anemia (hemoglobin 6.7g/dL, VGM 122fL) with reticulocytosis (535.530/uL), conjugated hyperbilirubinemia (total bilirubin 6.93mg/dL, direct bilirubin 2.53mg/dL), and peripheral blood smear showed anisopoikilocytosis and Howell-Jolly bodies. There was no elevation of inflammatory parameters. Abdominal ultrasound revealed a homogenous hepatosplenomegaly without dilation of the bile ducts. Erythrocyte concentrate transfusion was performed with good transfusion yield. There was an aggravation of cholestasis (maximum GGT 1377U/L; FA 505U/L; total bilirubin 19.2mg/dL and direct bilirubin 14.8mg/dL) and ursodeoxycholic acid, phenobarbital and AQUADEK were initiated.

Bleeding and fetal-maternal transfusion was excluded and causes of hemolysis studied. Blood typing was A Rh-, direct antiglobulin test negative, hemoglobin electrophoresis and G6PD and PK measurements were normal. Genetic test revealed a compound heterozygosity with deletion c.934delA and a missense mutation c.1532G>A, diagnostic for PK deficiency. Other causes of neonatal cholestasis were excluded, namely infections, biliary atresia and metabolic diseases.

The infant maintained chronic hemolysis with severe anemia with need of blood transfusions every 2-4 weeks and poor weight gain so partial splenectomy was performed at 2 years without significant improvement. She developed iron overload with moderate iron deposition in the liver showed in abdominal RMN (Liver Fe 105µmol/g of dry tissue), although maximum ferritin was 589ng/mL. She started iron chelation with deferasirox with improvement of hepatic iron deposition.

At 5 years, total splenectomy was performed with significant improvement of hemolysis and hemoglobin (baseline Hb 7,5g/dL). She was no longer dependent on regular blood transfusions and a resolution of iron overload was verified. Gallstones were detected and she was submitted to cholecystectomy at 8 years of age.

4 Conclusiones/ Conclusões

The precocity and severity of disease make this a particular case. The dependency of blood transfusions led to important hepatic iron overload without significant elevation of ferritin. Genetic test was crucial for diagnosis since enzyme measurements were normal due to reticulocytosis.



SEHOP
SOCIEDAD ESPAÑOLA
DE HEMATOLOGÍA Y ONCOLOGÍA
PEDIÁTRICAS

SOCIEDADE DE HEMATOLOGIA
E ONCOLOGIA PEDIATRICA
DA SOCIEDADE PORTUGUESA DE PEDIATRIA

1^{ER} CONGRESO IBÉRICO DE HEMATOLOGIA Y ONCOLOGIA PEDIATRICAS

virtual

21 Y 23 SEPT 2021
28 Y 30 SEPT

C0164 BÚSQUEDA DE BIOMARCADORES EPIGENÉTICOS DE PREDISPOSICIÓN A NEUROBLASTOMA

Yania Yáñez Peralta, Pablo Gargallo Tatay (Imegen, parte de Health in code group, Paterna, España), Antonio José Cañada (Unidad Bioestadística, IISLaFe, 46026, Valencia, España), David Hervás Marín (Universidad Politécnica de Valencia, Valencia, España), Juan Sandoval del Amor (Unidad Epigenética, IISLaFe, 46026, Valencia, España), Adela Cañete Nieto (Oncología Pediátrica, Hospital La Fe, 46026, Valencia, España)

1 Objetivos/ Metas

El neuroblastoma (NB) se desarrolla favorecido por la presencia de alteraciones genéticas de predisposición en línea germinal hasta en un 10% de los pacientes. En los demás niños, los elementos subyacentes que favorecen la aparición de este tumor son totalmente desconocidos. Las alteraciones en el patrón de metilación se han asociado a la predisposición a distintos tumores del adulto. En NB, dichas aberraciones condicionan una desregulación transcripcional involucrada en la progresión tumoral, debido a la inestabilidad cromosómica que se origina, al silenciamiento aberrante de la transcripción de genes supresores tumorales y la reactivación de oncogenes. El objetivo de este trabajo es identificar perfiles de metilación asociados a la predisposición a NB, al comparar DNA constitucional de pacientes afectados de NB y controles sanos.

2 Material y Métodos/ Material e métodos

Se realizó un estudio retrospectivo a partir de muestras de sangre y tumor de 22 pacientes diagnosticados de NB y 20 muestras de sangre de controles sanos, adecuadamente pareados por edad, sexo y raza. Para el análisis de la metilación global se hibridaron las 64 muestras de ADN previamente convertido con bisulfito, en la plataforma de Illumina (Infinium Methylation EPIC BeadChip®) que interroga 850.000 sitios CpG localizados en regiones promotoras, *enhancers*, exones e intrones de todo el genoma.

3 Resultados

Se identificó un perfil diferencial de metilación al comparar pacientes y controles. Se detectaron altos niveles de metilación en sitios CpG localizados en genes supresores tumorales como *TCL6*, *ARIH2*, *FOXP1*, *ABCB1* y *MAX*; concretamente en la cg09015115 (OR= 5.2) situada en *TCL6*, la cg19016768 (OR= 3.9) en *ARIH2*, las cg23964444 (OR= 3.8), cg08173709 (OR=2.6), cg26992381 (OR=362), cg10396764 (OR=8.4) y cg1192992 (OR=23), localizadas tanto en 5'UTR, secuencia génica e islas CpGs de la región promotora de *FOX1P* y la cg16772035 (OR=12) localizada en una isla CpG en *ABCB1*. Especialmente, los altos niveles de metilación detectados en la secuencia génica y en una isla CpG de la región promotora del gen *MAX* (cg16583315 (OR=146) y cg26085285 (OR=6,8) respectivamente), sugieren una posible implicación de dicho gen en la susceptibilidad a NB como ocurre con otros tumores neuroendocrinos.

4 Conclusiones/ Conclusões

Los biomarcadores epigenéticos identificados deben ser validados en una amplia cohorte de pacientes en estudios multicéntricos. El silenciamiento de genes supresores tumorales mediante la hipermetilación de islas CpG es un evento clave en el proceso de tumorigénesis. Las alteraciones en el patrón de metilación de los genes supresores tumorales identificadas en este estudio, podrían resultar de utilidad como biomarcadores de predisposición a NB.



SEHOP
SOCIEDAD ESPAÑOLA
DE HEMATOLOGÍA Y ONCOLOGÍA
PEDIÁTRICAS

1^{ER} CONGRESO IBÉRICO DE HEMATOLOGIA Y ONCOLOGIA PEDIATRICAS

virtual

21 Y 23 SEPT 2021
28 Y 30 SEPT

C0165 PATOLOGÍA ONCOLÓGICA IMPORTADA. NUESTRA EXPERIENCIA EN EL SUR DE ESPAÑA.

Laura García Hidalgo, Guiomar Gutierrez Schiaffino (HRU de Málaga), Marta Gomez Muñoz (HRU de Málaga), María del Rosario Prieto Bonilla (HRU de Málaga), Marta Cortes Hernandez (HRU de Málaga), Miguel Angel Lendinez Ramirez (HRU de Malaga), Esmeralda Nuñez Cuadros (HRU de Málaga)

1 Objetivos/ Metas

Cada año miles de niños emigran a España con sus familias. En ocasiones es la enfermedad oncohematológica lo que les impulsa a emprender este viaje, dado que la supervivencia de estos niños en países en vías de desarrollo no llega al 20%. Pretendemos analizar las características de los pacientes con patología oncológica importada en nuestro centro en los últimos 10 años.

2 Material y Métodos/ Material e métodos

Estudio descriptivo retrospectivo de los pacientes afectos de leucemias o tumores sólidos que ha recibido nuestro hospital procedentes de países en vías de desarrollo en los últimos 10 años. Se excluyeron inmigrantes que ya vivían en España al diagnóstico.

3 Resultados

En los últimos 10 años atendimos a 73 pacientes con patología oncológica importada (media de 7,3 pacientes nuevos al año). Varones 58.9% y mujeres (41.1%) de entre 3 días y 15 años. El 74% (54) oncológicos y 26% (19) leucemias. De los tumores sólidos destacan los de sistema nervioso central (18) neuroblastomas (8) germinales (4) tumores de wilms (1). Hubo 9 linfomas y 4 síndromes de Griscelli. El 62.5% de los neuroblastomas fueron metastásicos al diagnóstico. Procedían en su mayoría de la zona Norte de Marruecos el 91.8% (67), Siria (2), Costa de marfil (1) Rumanía (2) y Ucrania (1). El 83.6% (61) llegaron de forma irregular o desconocida, familiares (6), ONG (3) y medios propios/regular (3). El 84.9% (62) llegaron al diagnóstico, 9 en recaídas y 2 con tratamientos incompletos. El 31.5% (23) no aportaba ninguna prueba complementaria. El 89.5% de leucemias si aportaban pruebas complementarias. El tiempo medio global de diagnóstico desde el inicio de síntomas fueron 85.5 días. El 80.1% (59) de los pacientes no había recibido ningún tipo de tratamiento en su país de origen. La adherencia al tratamiento fue buena en el 82.2% de los pacientes. Se ha perdido el seguimiento de 14 pacientes (19.2%), 6 de ellos por traslado de ciudad en España. De ellos están en RC 22 (30.1%), Vivos con enfermedad (4), en tratamiento (4) y exitus 32 (43.8%). Destaca un 83.5% de barrera idiomática.

4 Conclusiones/ Conclusões

La mortalidad es mayor comparada con los pacientes españoles. Los retrasos diagnósticos sobre todo en tumores sólidos, tratamientos incompletos, estadios avanzados y comorbilidades no tratadas juegan un papel fundamental en el aumento de la morbimortalidad. Se hacen necesarios acuerdos de transferencia de pacientes con los países donantes que mejoren su traslado intercentros y las condiciones en las que son recibidos.



SEHOP
SOCIEDAD ESPAÑOLA
DE HEMATOLOGÍA Y ONCOLOGÍA
PEDIÁTRICAS

1^{ER} CONGRESO IBÉRICO DE HEMATOLOGIA Y ONCOLOGIA PEDIATRICAS

virtual

21 Y 23 SEPT 2021
28 Y 30 SEPT

C0166 GRAY PLATELET SYNDROME - A CLINICAL CASE

Sofia Cochito Sousa, Catarina Salgado (Unidade de Hematologia Pediátrica, Departamento de Pediatria, Hospital de Santa Maria, Centro Hospitalar Universitário Lisboa Norte. Clínica Universitária de Pediatria, Faculdade de Medicina, Universidade de Lisboa.), Maria João Palaré (Unidade de Hematologia Pediátrica, Departamento de Pediatria, Hospital de Santa Maria, Centro Hospitalar Universitário Lisboa Norte. Clínica Universitária de Pediatria, Faculdade de Medicina, Universidade de Lisboa.), Teresa Fidalgo (Serviço de Hematologia Clínica, Centro Hospitalar Universitário de Coimbra), Anabela Ferrão (Unidade de Hematologia Pediátrica, Departamento de Pediatria, Hospital de Santa Maria, Centro Hospitalar Universitário Lisboa Norte. Clínica Universitária de Pediatria, Faculdade de Medicina, Universidade de Lisboa.)

1 Objetivos/ Metas

Gray platelet syndrome (GPS) is a rare platelet dysfunction disease with absence of platelet a-granules that causes bleeding tendency, splenomegaly, myelofibrosis and increased risk of autoimmune disorders.

2 Material y Métodos/ Material e métodos

3 Resultados

A 13-year-old girl presented to the emergency department with a hemorrhagic shock secondary to menstruation.

She was the first child of healthy non-related parents, naturals from Columbia. She had three previous hospitalizations because of severe nose bleeding and she was diagnosed with immune thrombocytopenia and didn't receive treatment (platelet counts 112,000-153,000/uL).

One week before admission she started menses with profuse bleeding with clots and developed progressive pallor, weakness and lipothymia. On the admission day, she had a syncope and petechiae appeared.

She presented with tachycardia, hypotension, pallor and generalized petechiae. She had menstrual bleeding without evidence of other bleeding. A volume bolus was given and blood analyses were performed: Hb 5,0g/dL, platelets 80,000/uL; PT 11/11,6seconds; aPTT 18,7/19seconds; fibrinogen 120mg/dL; d-dimers 2,00ug/mL; lactate 1mmol/L; identification of SARS-CoV-2 in nasopharyngeal secretions. She was administered 3 blood units, fresh frozen plasma and fibrinogen with improvement in tachycardia and blood pressure. She started tranexamic acid and oral contraception with a high dose of estrogen with progressive control of the bleeding. During hospitalization she developed headache, nausea and vomits which were attributed to COVID-19 infection.

Thrombocytopenia alone couldn't explain the magnitude of bleeding, and it did not appear to be immune thrombocytopenia. Platelets remained low (minimum of 72,000/uL) with a mean volume >11fL, PFA with ADP 144sec/118sec and PFA with adrenalin 181sec/165sec, probably related to thrombocytopenia, and aggregation study was within normal range. Bleeding clot factors measurement were all within normal range with exception of factor XIII (measurement 50%). Von Willebrand factor (VWF) antigen, ristocetin cofactor and multimeric test were all normal. Abdominal ultrasound showed no alterations. Having in mind the macrothrombocytopenia, we performed a NGS panel that revealed two NBEAL2 gene mutations, one in homozygosity and other in heterozygosity and two VWF gene mutations in heterozygosity. Diagnosis of GPS was made. She developed severe ferropenia and was treated with intravenous iron. During follow-up special attention must be paid to development of myelofibrosis and autoimmune disorders.

4 Conclusiones/ Conclusões

This case represents a severe presentation of GPS and reinforces the importance of NGS panels in the diagnosis of blood dyscrasias. The correct diagnosis is crucial for adequate treatment and follow-up that need to be addressed according to the specific disease.



SEHOP
SOCIEDAD ESPAÑOLA
DE HEMATOLOGÍA Y ONCOLOGÍA
PEDIÁTRICAS

1^{ER} CONGRESO IBÉRICO DE HEMATOLOGÍA Y ONCOLOGÍA PEDIÁTRICAS

virtual

21 Y 23 SEPT 2021
28 Y 30 SEPT

C0168 UTILIZACIÓN DE INOTUZUMAB-OZOGAMICINA (INO) EN DOS PACIENTES CON LLA-B EN RECAÍDA EN DOS HOSPITALES TERCARIOS.

Ana Pastor Tudela, Mónica López Duarte (Servicio de Hematología. H. U. Marqués de Valdecilla), Rosa María Adán Pedroso (Pediatria. Unidad de Hematooncología Pediátrica. H.U. Cruces. Vizcaya), Jimena María de Pedro Olabarrí (Pediatria. Unidad de Hematooncología Pediátrica. H.U. Cruces. Vizcaya), Ricardo López Almaraz (Pediatria. Unidad de Hematooncología Pediátrica. H.U. Cruces. Vizcaya), Miguel Alejandro García Ariza (Pediatria. Unidad de Hematooncología Pediátrica. H.U. Cruces. Vizcaya), Aizpea Beatriz Echebarría Barona (Pediatria. Unidad de Hematooncología Pediátrica. H.U. Cruces. Vizcaya), Paula González Urdiales (Pediatria. Unidad de Hematooncología Pediátrica. H.U. Cruces. Vizcaya)

1 Objetivos/ Metas

Exponer nuestra experiencia en el uso de InO, así como comparar efectos secundarios y resultados del tratamiento con los datos que aparecen en la literatura.

2 Material y Métodos/ Material e métodos

Revisión de la literatura en relación al uso de InO (anticuerpo monoclonal frente a CD22) en pacientes pediátricos y adultos diagnosticados de leucemia linfoblástica aguda B (LLA-B) refractarios/en recaída. Revisión de la historia retrospectiva del curso de la enfermedad de dos pacientes con diagnóstico de LLA-B en recaída, que han recibido InO.

3 Resultados

Los casos analizados, son pacientes mujeres de 6 (no1) y 14 (no2) años diagnosticadas de LLA-B other, incluídas en el grupo de riesgo intermedio según esquema nacional vigente, que alcanzaron RCi y RC respectivamente tras dos ciclos de InO con dosis total de 1,8 mg/m² en primer ciclo y 1,5 mg/m² en el segundo. La paciente no1, recibió InO en 2a recaída medular precoz tras trasplante de progenitores hematopoyéticos (TPH) alogénico idéntico como puente a terapia CAR-T y la paciente no2 en 2a recaída medular precoz como terapia puente a TPH alogénico haploidéntico. La administración del fármaco de forma semanal fue bien tolerada en ambas, como está descrito en la literatura. Como intercurencias, la paciente no1 presentó un episodio de fiebre y neutropenia en el día +5 de la primera dosis de InO, con aislamiento de Rhinovirus en lavado nasofaríngeo. La paciente no1, recibió ácido ursodesoxicólico durante la administración de InO. A los 18 meses de la terapia CAR-T desarrolla síndrome mielodisplásico y precisa un 2o TPH, empleándose defibrotide como profilaxis para síndrome de obstrucción sinusoidal (SOS), ya que es el principal efecto secundario descrito en la inmunoterapia con InO. El uso de alquilantes, el grado de incompatibilidad, además del tiempo transcurrido entre la administración del fármaco y el TPH y la radioterapia previa, aumentan su probabilidad. La paciente no2 también recibió defibrotide durante el TPH alogénico. Ninguna de ellas presentó SOS como complicación.

4 Conclusiones/ Conclusões

La terapia puente con anticuerpos monoclonales ofrece con un adecuado perfil de seguridad, respuestas completas que permiten alcanzar posibles terapias curativas, como ha ocurrido en los dos casos expuestos. Las pacientes continúan en remisión completa y libres de enfermedad a los 3 años y 1 año de la administración del fármaco respectivamente.



SEHOP
SOCIEDAD ESPAÑOLA
DE HEMATOLOGÍA Y ONCOLOGÍA
PEDIÁTRICAS

1^{ER} CONGRESO IBÉRICO DE HEMATOLOGIA Y E ONCOLOGIA PEDIATRICAS *virtual* 21 Y 23 SEPT 2021 28 Y 30 SEPT

C0171 NGS MOLECULAR PROFILE OF VASCULAR ANOMALIES: RESULTS FROM 5 PATIENTS TREATED IN A VASCULAR ANOMALY MDT

Jorge Lima, Helena Barroca (Departamento de Patología, Centro Hospitalar Universitário de São João, Porto, Portugal), Paula Soares (Cancer Signalling and Metabolism Group, i3S-Ipatimup, Porto, Portugal), Jose Carlos Machado (Intercellular Communication and Cancer, i3S-Ipatimup, Porto, Portugal), Antonio Miguel Madureira (Unidade de Radiologia de Intervenção, Centro Hospitalar Universitário São Joao, Porto, Portugal), Joana Rebelo (Departamento de Oncologia Pediátrica, Centro Hospitalar Universitário São Joao, Porto, Portugal), Maria Garcia (Departamento de Cirurgia Pediátrica, Centro Hospitalar Universitário São Joao, Porto, Portugal), Maria do Bom-Sucesso (Departamento de Oncologia Pediátrica, Centro Hospitalar Universitário São Joao, Porto, Portugal)

1 Objetivos/ Metas

Vascular anomalies are a heterogenous group of tumors and malformations with a wide range of severity. Classification is evolving towards a better phenotype and genotype correlation and treatment. Our aim was to use a NGS panel to determine the somatic genetic defects of vascular anomalies from patients treated in the Multidisciplinary Vascular anomaly Team of Centro Hospitalar Universitário de São João.

2 Material y Métodos/ Material e métodos

FFPE material from 5 patients with vascular anomalies. Samples were centrally reviewed by expert pathologists and profiled using the OncoPrint Childhood Cancer Research Assay, followed by variant calling with Ion Reporter. Signed informed consent was obtained.

3 Resultados

Patient 1, 6y old girl, CLOVES phenotype. The genetic screening revealed the c.1735_1740del p.(Gln579_Tyr580del) mutation in the *PIK3R1* gene, which belongs to the hypomorphic class of *PIK3R1* mutations. Additional variants of unknown significance were detected in *NF1*, *MDM4* and *ARID1A* genes. This mutation was detected with 13% of allelic frequency.

Patient 2, 51 y old man, facial infiltrating lipomatosis. The genetic screening revealed the c.3140A>T p.(His1047Leu) mutation in the *PIK3CA* gene, which is among the most frequent hotspot oncogenic mutations of *PIK3CA*. This mutation was detected with 9% of allelic frequency.

Patient 3, 19 y old man, complex lymphatic anomaly with thrombocytopenia. The genetic screening revealed the c.182A>G p.(Gln61Arg) mutation in the *NRAS* gene, which is among the most frequent hotspot oncogenic mutations of *NRAS*. This mutation was detected with 5% of allelic frequency.

Patient 4, 33 y old woman, cervical intramuscular fast-flow vascular anomaly. The Genetic screening revealed the c.167A>C p.(Gln56Pro) mutation in the *MAP2K1* gene, which is a hotspot oncogenic mutations of *MAP2K1*. This mutation was detected with 7% of allelic frequency. An additional variant of unknown significance was detected in *JAK3* gene.

Patient 5, 4 y old woman, Fibro-adipose vascular anomaly. The genetic screening revealed two variants of unknown significance: the c.4216G>T; p.(Gln1406Tyr) variant in the *TSC2* gene, and the c.2152G>C; p.(Val718Leu) in the *JAK3* gene.

4 Conclusiones/ Conclusões

Diagnosis of complex vascular anomalies can be challenging due to phenotype heterogeneity. This study enabled the genetic characterization of distinct lesions and allowed, not only an improved characterization and biological understanding of these diseases, but also the identification of actionable alterations. It also draws attention to the multidisciplinary environment as the standard of care to treat these patients.



SEHOP
SOCIEDAD ESPAÑOLA
DE HEMATOLOGÍA Y ONCOLOGÍA
PEDIÁTRICAS

1^{ER} CONGRESO IBÉRICO DE HEMATOLOGIA Y ONCOLOGIA PEDIATRICAS

virtual

21 Y 23 SEPT 2021
28 Y 30 SEPT

C0175 REVISIÓN DE LAS CARACTERÍSTICAS EPIDEMIOLÓGICAS DEL NEUROBLASTOMA EN UN HOSPITAL DE TERCER NIVEL

María Cristina Vicho González, María Elena Mateos González (Hospital Reina Sofía de Córdoba), Ana Isabel Perea Quintana (Pediatra Hospital Reina Sofía de Córdoba), Olga Díaz Morales (Hospital Reina Sofía de Córdoba), María Luisa Moreno Tejero (Hospital Materno Infantil de Badajoz)

1 Objetivos/ Metas

Objetivo: describir las características de los pacientes con neuroblastoma del Hospital Universitario Reina Sofía de Córdoba (HURS) y su supervivencia

2 Material y Métodos/ Material e métodos

Material y métodos: Se incluyeron niños < 18 años diagnosticados de neuroblastoma en el HURS, de enero de 2003 a mayo de 2021. Se realizó un estudio retrospectivo y descriptivo, mediante revisión de historias clínicas, analizando variables demográficas, y tasas de supervivencia a través de curvas de Kaplan-Meier.

3 Resultados

Resultados: Se analizaron 31 pacientes de los cuales 22 pertenecían al riesgo bajo-intermedio y 9 al alto. La media de edad al diagnóstico es de 22,06 meses (desviación estándar: 29,5 meses). El 51,6% eran niñas y el 48,4% niños.

Con respecto a la localización 54,84% eran de origen suprarrenal, 16,13% torácico, 16,13% retroperitoneales, 9,68% pélvicos y 3,23% cervicales.

Desde el punto de vista anatomopatológico 41,94% eran neuroblastomas en diferenciación, 38,71% pobremente diferenciados, 16,13% indiferenciados, 3,23% desconocido.

Con respecto al estudio molecular: la amplificación N-MYC estaba presente en 3 pacientes (9,7%); la delección 11q en 3 pacientes (9,7%); las alteraciones numéricas en 14 pacientes (45,2%) y las alteraciones segmentarias en 9 pacientes (29%).

De los tumores analizados 32,26% eran L1, 29,03% L2, 22,58% M y 16,13% Ms. En base al riesgo tumoral el 64,52% eran bajo riesgo, 9,68% riesgo intermedio y 25,81% alto riesgo.

El 100% de los pacientes se sometieron a tratamiento quirúrgico de los cuales un 67,7% recibió también tratamiento quimioterápico y un 25,81% tratamiento radioterápico. Del tratamiento quimioterápico recibido el 25,81% recibió carboplatino+etoposido y ciclofosfamida+doxorubicina+vincristina, el 19,35% recibió quimioterapia tipo COJEC, el 6,45% recibió ciclofosfamida+vincristina y carboplatino+etoposido, 3,23% ciclofosfamida+vincristina y ciclofosfamida+doxorubicina+vincristina, 3,23% carboplatino+etoposido, 3,23% ciclofosfamida+vincristina, 3,23% protocolo INES99-2 y 3,23% protocolo INES99-3.

En relación a la respuesta al tratamiento un 58,06% presentó respuesta completa, un 38,71% enfermedad estable y un 3,23% respuesta parcial.

La supervivencia libre de eventos a los 5 años es del 80%. Con una supervivencia libre de evento por riesgo del 85%, 66,7% y 75% (para el riesgo bajo, intermedio y alto respectivamente).

La supervivencia global a los 5 años es del 87% con una supervivencia global por riesgo del 95%, 100% y 62,5% (para el riesgo bajo, intermedio y alto respectivamente)

4 Conclusiones/ Conclusões

Conclusión: La frecuencia de los factores biológicos de buen pronóstico en nuestra población puede estar relacionada con la excelente supervivencia global presente.



SEHOP
SOCIEDAD ESPAÑOLA
DE HEMATOLOGÍA Y ONCOLOGÍA
PEDIÁTRICAS

1^{ER} CONGRESO IBÉRICO DE HEMATOLOGIA Y ONCOLOGIA PEDIATRICAS

virtual

21 Y 23 SEPT 2021
28 Y 30 SEPT

C0179 TRAUMATISMO EN HISTIOCITOSIS DE CÉLULAS DE LANGERHANS: CAUSALIDAD O CASUALIDAD.

David del Cerro Rodríguez, Carmen Blanco Portals (Cirugía Pediátrica, Hospital Materno Infantil Teresa Herrera, Coruña, A Coruña, España), Teresa Dargallo Carbonell (Cirugía Pediátrica, Hospital Materno Infantil Teresa Herrera, Coruña, A Coruña, España), Salomé Vincent Sorba (Cirugía pediátrica, Hospital Materno Infantil Teresa Herrera, Coruña, España), Sara Ramallo Varela (Cirugía Pediátrica, Hospital Materno Infantil Teresa Herrera, Coruña, A Coruña, España), Ana Belén Alas Barbeito (Hemato-Oncología Pediátrica, Hospital Materno Infantil Teresa Herrera, Coruña, A Coruña, España), Gema Muñoz García (Hemato-Oncología Pediátrica, Hospital Materno Infantil Teresa Herrera, Coruña, A Coruña, España), Manuel Adolfo Gómez Tellado (Cirugía pediátrica, Hospital Materno Infantil Teresa Herrera, Coruña, España)

1 Objetivos/ Metas

La Histiocitosis de células de Langerhans es una entidad infrecuente caracterizada por la proliferación descontrolada de células dendríticas positivas para CD1a y S100. Puede ocurrir a cualquier edad, presentado un pico de incidencia entre el año y los cuatro años de vida. La incidencia es de 2-9 casos por millón habitantes por año, con una discreta preponderancia en varones.

Su forma de presentación es muy variada. Puede cursar como una enfermedad localizada en un solo órgano, lo más frecuente, o de manera multisistémica. El órgano más frecuentemente afectado es el hueso, seguido de piel, tejidos blandos e hígado.

2 Material y Métodos/ Material e métodos

Realizamos un estudio retrospectivo, revisando todos los pacientes con diagnóstico de Histiocitosis de células de Langerhans de los últimos 8 años en nuestro centro y seleccionando aquellos que presentaron un antecedente de traumatismo en la zona de aparición de la lesión.

3 Resultados

Un total de 10 pacientes fueron diagnosticados de Histiocitosis de Células de Langerhans en nuestro centro en el periodo de estudio. De ellos, 8 presentaron una forma localizada y 2 una forma multisistémica. La edad media fue de 4 años y 2 meses. De estos pacientes, 7 eran mujeres (77%) y 2 eran hombres (23%).

De los pacientes con forma localizada, 4 presentaron un antecedente de traumatismo en la zona de aparición de la lesión (40%). Las zonas afectadas fueron hueso cigomático (1), esternón (2) y a nivel subcutáneo parietooccipital (1). El tiempo transcurrido entre el traumatismo y el diagnóstico definitivo varió entre 1 y 15 meses. El diagnóstico diferencial de las pruebas de imagen incluyó lesiones sarcomatosas, infecciosas y hematoma crónico. Todos los pacientes han tenido una buena respuesta a su línea de tratamiento y actualmente se encuentran en remisión, con seguimiento conjunto en consultas de oncohematología infantil y cirugía pediátrica.

4 Conclusiones/ Conclusões

La afectación ósea solitaria es la manifestación más frecuente de la Histiocitosis de células de Langerhans, especialmente en población pediátrica. Son múltiples los estudios que recogen casos con antecedente de traumatismo en la zona de aparición de la lesión, pero sin llegar a demostrar si esto tiene una relación de causalidad o de mera casualidad. El amplio abanico de diagnósticos diferenciales que se recoge en esta entidad, así como el lapso de tiempo entre la aparición de los síntomas y el diagnóstico definitivo, nos obligan a realizar una historia clínica detallada, teniendo el antecedente de traumatismo presente en nuestro diagrama diagnóstico.



SEHOP
SOCIEDAD ESPAÑOLA
DE HEMATOLOGÍA Y ONCOLOGÍA
PEDIÁTRICAS

1^{ER} CONGRESO IBÉRICO DE HEMATOLOGÍA Y ONCOLOGÍA PEDIÁTRICAS

virtual

21 Y 23 SEPT 2021
28 Y 30 SEPT

C0183 EXPERIENCIA CON LAROTRECTINIB EN PACIENTES CON FIBROSARCOMA CON GEN DE FUSIÓN ETV6-NTRK3

Bárbara M. Ochoa Fernández, Pedro Rubio Aparicio (Servicio de Hemato-Oncología Pediátrica, Hospital Infantil Universitario La Paz), Diego Plaza (Servicio de Hemato-Oncología Pediátrica, Hospital Infantil Universitario La Paz.), María Dolores Corral (Servicio de Hemato-Oncología Pediátrica, Hospital Infantil Universitario La Paz.), Pilar Guerra-García (Servicio de Hemato-Oncología Pediátrica, Hospital Infantil Universitario La Paz), Adela Escudero-López (Instituto de Genética Médica y Molecular (INGEMM), Hospital Universitario La Paz), Ana Sastre Urguelles (Servicio de Hemato-Oncología Pediátrica, Hospital Infantil Universitario La Paz), Antonio Pérez-Martínez (Servicio de Hemato-Oncología Pediátrica, Hospital Infantil Universitario La Paz)

1 Objetivos/ Metas

El fibrosarcoma infantil (FSI) es un tumor poco frecuente que suele presentarse en menores de 2 años. El tratamiento de elección es quirúrgico, pero no siempre es factible, habiéndose utilizado quimioterapia como tratamiento adyuvante.

Con frecuencia, este tumor se asocia al gen de fusión ETV6-NTRK3. NTRK3 codifica el receptor tirosina quinasa del factor de crecimiento de neurotrofina-3 y representa una diana terapéutica. Los inhibidores selectivos del receptor quinasa de tropomiosina (TRK), como larotrectinib, han demostrado eficacia en el tratamiento del FSI.

2 Material y Métodos/ Material e métodos

Presentamos dos casos de FSI con fusión ETV6-NTRK3 tratados con larotrectinib.

3 Resultados

Se describen 2 pacientes menores de 1 año diagnosticados de FSI. La paciente 1, mujer, fue diagnosticada prenatalmente de una masa abdominal. Al nacimiento se confirmó la presencia de una masa retroperitoneal (4,6x4,8x6,6 cm) asociada a un aneurisma gigante de aorta abdominal. El paciente 2, lactante varón de 1 mes en el que se detectó una masa (7x6,6x6,2 cm) en miembro inferior izquierdo.

En ambos pacientes se realizó biopsia de la lesión y el examen patológico fue compatible con FSI. El estudio citogenético mediante hibridación fluorescente in situ confirmó la presencia del gen de fusión ETV6-NTRK3.

Se decidió administrar larotrectinib, obteniendo respuesta completa en ambos casos. La duración del tratamiento fue de 12 meses en el caso 1 (suspendido de manera programada) y 7 meses en el caso 2 (aún en tratamiento activo). El caso 1 permanece en remisión 7 meses tras suspender el tratamiento. Ninguno de los pacientes ha presentado efectos adversos considerables, excepto neutropenia moderada que remitió tras ajuste de dosis. Específicamente, no se han observado alteraciones en el neurodesarrollo.

4 Conclusiones/ Conclusões

Estos casos ilustran la buena respuesta observada en lactantes con FSI no susceptible de cirugía, tratados con larotrectinib.

La oncología de precisión proporciona una opción terapéutica novedosa y eficaz para los FSI que portan la fusión característica ETV6-NTRK3, que podría incluso hacer replantear el papel de la cirugía en estos tumores. Además de representar un aumento significativo en la calidad de vida de los pacientes y familiares, quienes en este caso han recibido tratamiento ambulatorio por vía oral sin complicaciones mayores.

A pesar de que la eficacia y seguridad de estos fármacos es prometedora, aún no existen estudios estandarizados que establezcan la duración del tratamiento, ni describan con detalle los potenciales efectos adversos en el neurodesarrollo o riesgos de recidiva. Es clave continuar el seguimiento de estos pacientes a largo plazo.



SEHOP
SOCIEDAD ESPAÑOLA
DE HEMATOLOGÍA Y ONCOLOGÍA
PEDIÁTRICAS

1^{ER} CONGRESO IBÉRICO DE HEMATOLOGÍA Y ONCOLOGÍA PEDIÁTRICAS

virtual

21 Y 23 SEPT 2021
28 Y 30 SEPT

C0184 INFECCIÓN POR SARS-COV-2 EN PACIENTE CON LEUCEMIA LINFOBLÁSTICA B: ¿QUÉ OCURRE A NIVEL MEDULAR?

SOFIA ORDOÑEZ VAHI, JUAN FRANCISCO RODRÍGUEZ GUTIÉRREZ (UGC HEMATOLOGÍA Y HEMOTERAPIA, HOSPITAL DE JEREZ DE LA FRONTERA, JEREZ DE LA FRONTERA, ESPAÑA), CRISTINA BLÁZQUEZ GOÑI (UGC HEMATOLOGÍA Y HEMOTERAPIA, HOSPITAL DE JEREZ DE LA FRONTERA JEREZ DE LA FRONTERA, ESPAÑA)

1 Objetivos/ Metas

El nuevo SARS-CoV-2 es un agente capaz de inducir numerosos cuadros clínicos. Hasta el momento existe escasa evidencia del impacto de éste en médula ósea, habiéndose descrito casos de hemofagocitosis o desviación a la izquierda de la curva madurativa mieloide como parte del mecanismo reactivo de defensa del organismo ante este agente.

Describimos un caso de hiperplasia linfoide en médula ósea en paciente afecta de leucemia linfoblástica B en remisión completa con enfermedad mínima residual (EMR) negativa diagnosticada de infección por SARS-CoV-2.

2 Material y Métodos/ Material e métodos

Paciente de 3 años diagnosticada de leucemia linfoblástica B con iAMP21(EGIL II), en tratamiento según protocolo SEHOP/PETHEMA-2013 riesgo estándar. Entre la finalización de la inducción IB y la consolidación, en fase de pancitopenia secundaria al tratamiento, es diagnosticada de infección por SARS-CoV-2.

Doce días después se realiza PCR con resultado ya negativo. Pasados siete días, con plena recuperación hemoperiférica (se observaba linfopenia leve) y habiéndose evidenciado por serología presencia de anticuerpos IgG contra el virus, se realiza estudio medular de cara al inicio de la consolidación. En dicho estudio se observó por citomorfología una médula hiper celular a expensas de franca hiperplasia de serie linfoide (63% del total celular) de aspecto maduro, con linfocitos de pequeño tamaño y cromatina compacta sin nucleolo.

Por citometría de flujo (CF) el 20% de la celularidad total eran células B con una mayoría de fenotipo Pre-B, sin eventos de fenotipo similar a los blastos del diagnóstico en frecuencia superior a <0.01%.

3 Resultados

La paciente continuó el tratamiento quimioterápico y en el día +36 de consolidación se repitió el estudio medular, siendo normocelular con 8% de linfocitos por citomorfología y sin superar el 2% por CF, con normal distribución de sus estadios madurativos.

4 Conclusiones/ Conclusões

Dentro de las manifestaciones inducidas por el SARS-CoV-2, a nivel hematológico es conocida la linfopenia observada en casos graves y también se han descrito incrementos en la cifra de linfocitos en pacientes con leucemia linfática crónica.

En nuestro caso, al coincidir temporalmente con el periodo de convalecencia con anticuerpos IgG frente a SARS-CoV-2 y siendo autolimitada en menos de un mes, la hiperplasia linfoide podría ser un mecanismo reactivo para contribuir a la generación de células implicadas en la respuesta inmune. No se han descrito hasta el momento casos de hiperplasia linfoide medular en pacientes con infección por SARS-CoV2, siendo necesarios más estudios para corroborar esta hipótesis.



SEHOP
SOCIEDADE ESPANHOLA
DE HEMATOLOGIA Y ONCOLOGIA
PEDIÁTRICAS

1^{ER} CONGRESSO IBÉRICO DE HEMATOLOGIA Y E ONCOLOGIA PEDIÁTRICAS

virtual

21 Y 23 SET
28 Y 30 SET 2021

C0188 RETINOBLASTOMA EM CRIANÇAS PROVENIENTES DE PAÍSES AFRICANOS DE LÍNGUA OFICIAL PORTUGUESA

Raquel Gonçalves, Inês Luz (Serviço de Oncologia Pediátrica. Hospital Pediátrico, Centro Hospitalar e Universitário de Coimbra. Coimbra, Portugal), Mónica Jerónimo (Serviço de Oncologia Pediátrica. Hospital Pediátrico, Centro Hospitalar e Universitário de Coimbra. Coimbra, Portugal), Guilherme Castela (Serviço de Oftalmologia. Centro Hospitalar e Universitário de Coimbra. Coimbra, Portugal), Sónia Silva (Serviço de Oncologia Pediátrica. Hospital Pediátrico, Centro Hospitalar e Universitário de Coimbra. Coimbra, Portugal), Manuel Brito (Serviço de Oncologia Pediátrica. Hospital Pediátrico, Centro Hospitalar e Universitário de Coimbra. Coimbra, Portugal)

1 Objetivos/ Metas

O retinoblastoma é a neoplasia intraocular mais frequente na infância. Em crianças provenientes de países em vias de desenvolvimento, o diagnóstico ocorre habitualmente em estádios mais avançados da doença. Desde 2015 existe um único Centro de Referência Nacional de Onco-Oftalmologia em Portugal para o tratamento de crianças com retinoblastoma. Este trabalho teve como objetivo a caracterização de doentes com retinoblastoma provenientes de Países Africanos de Língua Oficial Portuguesa (PALOP), tratados num Centro de Referência de Onco-Oftalmologia Pediátrica em Portugal.

2 Material y Métodos/ Material e métodos

Estudo retrospectivo realizado entre 2015 e 2020. Foram incluídas crianças seguidas no centro de referência de Onco-Oftalmologia de Portugal, provenientes de PALOP, com suspeita de retinoblastoma. Recolhidos dados sobre a caracterização e orientação da doença.

3 Resultados

Foram incluídas 18 crianças, idade mediana de 2 anos (6 meses – 5 anos), 50% do sexo feminino. Relativamente ao país de origem, 7 eram naturais de Angola, 6 da Guiné, 4 de Cabo Verde e 1 de São Tomé e Príncipe. Destas crianças, 12 (66,7%) foram evacuadas ao abrigo de acordos de cooperação entre Portugal e os PALOP. O tempo mediano entre o início dos sintomas até à primeira observação médica foi de 7 meses (3 – 36 meses). O processo de evacuação mais longo teve uma demora de 12 meses. Sete crianças (38,9%) apresentavam retinoblastoma bilateral e 11 (61,1%) retinoblastoma unilateral. Segundo o sistema de classificação internacional de estadiamento do retinoblastoma, 1 doente apresentava retinoblastoma estadio 2, 3 doentes estadio 3 e 3 doentes estadio 4. Os restantes 11 doentes correspondiam a 15 olhos afetados. Relativamente ao estadiamento intraocular, 1 dos olhos pertencia ao grupo B, 2 ao grupo C, 1 ao grupo D e 10 ao grupo E. O estadiamento de 1 dos olhos é desconhecido. Seis crianças (33,3%) eram portadoras de mutação do gene RB1. Duas crianças cumpriram plano de quimioterapia e duas foram enucleadas no país de origem. Em Portugal, 15 crianças (83,3%) foram enucleadas, 13 (72,2%) realizaram quimioterapia (sistémica e/ou supra-seletiva da artéria oftálmica) e 5 (27,8%) radioterapia. Seis crianças (33,3%) tiveram recidiva de doença e 4 (22,2%) faleceram.

4 Conclusiones/ Conclusões

A falta de sensibilização para o retinoblastoma associada à dificuldade de acesso a cuidados médicos diferenciados, constituem barreiras importantes ao diagnóstico atempado e terapêutica dirigida às crianças provenientes de PALOP. Este grupo de doentes tem uma taxa de sobrevivência inferior às crianças de países desenvolvidos.



SEHOP
SOCIEDAD ESPAÑOLA
DE HEMATOLOGÍA Y ONCOLOGÍA
PEDIÁTRICAS

1^{ER} CONGRESO IBÉRICO DE HEMATOLOGIA Y ONCOLOGIA PEDIATRICAS

virtual

21 Y 23 SEPT 2021
28 Y 30 SEPT

C0189 HOME-BASED CARE AT A PEDIATRIC CANCER CENTER DURING A SARS-COV-2 PANDEMIC

Ana Paula Dias Fernandes, Carla Pereira (Nurse, Home Care Unit - UMAD, Pediatric Oncology Department, Centro Hospitalar Universitário São João, Portugal), Helena Reimão (Nurse, Pediatric Oncology Department, Centro Hospitalar Universitário São João, Portugal), Andreia Magalhães (Nurse, Pediatric Oncology Department, Centro Hospitalar Universitário São João, Portugal), Maria do Bom Sucesso (MD, Pediatric Oncology Department, Centro Hospitalar Universitário São João, Portugal; Medical Faculty of the University of Porto, Portugal)

1 Objetivos/ Metas

Centro Hospitalar São João Pediatric Home Care Unit - UMAD – is working since 2012, providing differentiated hospital care at home for patients with complex chronic diseases. The declaration of state of emergency in March 2020, due to SARS-CoV-2 pandemic, led to the prioritization of this care to patients that depended on it to survive, namely pediatric cancer patients. The authors aim at characterizing the pediatric population with oncological disease that received home-care, and the at-home interventions performed during the period from 1st March to 31st May 2020.

2 Material y Métodos/ Material e métodos

Cross-sectional and retrospective observational study with characterization of pediatric patients visited by the UMAD and interventions carried out in the referred period.

3 Resultados

A total of 280 home visits were performed to 59 patients, 27 male and 32 female; ages between two months and 19 years old; 55 patients had solid tumors - 30 with central nervous system tumors and 25 extracranial solid tumors - and four patients with non oncological hematological pathology. Forty patients were in active treatment of their disease and 19 were in follow-up. Four patients were in an advanced stage of disease with palliative care interventions. The interventions were mostly for central venous catheters (CVC) maintenance (n=191) and blood sampling by CVC (n=178), but also for treatment with intravenous antibiotic therapy (n=27). Others: subcutaneous therapy (n=4), and peripheral vein (n=28), gastrostomy tube management (n=1), caregiver training and nursing care teachings (n=4) and surgical wound care.

4 Conclusiones/ Conclusões

Comparing to the mean of visits in 2018 and 2019 in the same period of time, in 2020 we increased home-care by 455%.

The main benefits of this approach were the mitigation of risk exposure and Sars-CoV-2 infection through the reduction of hospital visits from these patients and their caregivers, allowing for better management of those patients that required hospital care. We managed to prevent prolonged stays in hospital settings and environments (outpatient consultation, day-care-hospital, outpatient pharmacy) and were able to provide earlier hospital discharge.

The social and psychological impact of home care, which reduced the fear related to hospital visits during the pandemic, is difficult to measure but was unequivocally beneficial for these families. Home care in a pandemic setting, with rapidly evolving environment and new challenges, required an enormous capacity of organization, coordination and adaptability of health care professionals.



SEHOP
SOCIEDAD ESPAÑOLA
DE HEMATOLOGÍA Y ONCOLOGÍA
PEDIÁTRICAS

1^{ER} CONGRESSO IBÉRICO DE HEMATOLOGIA Y E ONCOLOGIA PEDIÁTRICAS

virtual

21 Y 23 SET
28 Y 30 SET 2021

C0192 HISTIOCILOSE DE CÉLULAS DE LANGERHANS NUMA CRIANÇA COM SÍNDROME DE BARTH

Ricardo Mota, Esmeralda Rodrigues (Unidade de Doenças Hereditárias do Metabolismo, Centro Hospitalar Universitário São João, Porto, Portugal), Maria João Baptista (Serviço de Cardiologia Pediátrica, Centro Hospitalar Universitário São João, Porto, Portugal Faculdade de Medicina da Universidade do Porto), Elisa Leão Teles (Unidade de Doenças Hereditárias do Metabolismo, Centro Hospitalar Universitário São João, Porto, Portugal), Nuno Reis Farinha (Serviço de Oncologia Pediátrica, Centro Hospitalar Universitário São João, Porto, Portugal)

1 Objetivos/ Metas

O síndrome de Barth é uma patologia mitocondrial rara caracterizada por cardiomiopatia, miopatia esquelética, neutropenia, atraso de crescimento e acidúria orgânica. Descrevemos um caso de um rapaz de 8 anos com síndrome de Barth diagnosticado com Histiocitose de Células de Langerhans.

2 Material y Métodos/ Material e métodos

Informação clínica do doente.

3 Resultados

Taquipneia com acidose hiperlactacidémica e hipertrofia biventricular no ecocardiograma levaram à suspeita de Síndrome de Barth no período neonatal, posteriormente confirmado por teste genético. Iniciou tratamento com bicarbonato, com melhoria, ao qual posteriormente foi adicionada arginina. Também realizou terapêutica com propranolol.

O desenvolvimento neuromotor e estaturponderal foram normais, bem como função cardíaca, mas apresentava neutropenia cíclica severa associada a monocitose marcada. Apresentou algumas intercorrências infecciosas, tendo sido medicado temporariamente com filgastrim.

Aos 5 anos de idade, foi detectado um nódulo linfático submandibular, duro, que foi biopsado e cuja histologia permitiu o diagnóstico de Histiocitose de Células de Langerhans (HCL). A biologia molecular não revelou mutação no gene BRAF. O estadiamento revelou uma lesão lítica na região parietal direita, definindo uma forma multissistémica da HCL.

Após indução com prednisolona e seis doses de vinblastina, verificou-se regressão das lesões. Um esquema de indução foi repetido, sem remissão.

A neutropenia constitucional levou a atrasos no tratamento, motivo pelo qual um tratamento mais aplasiante foi considerado contraindicado. Manteve o mesmo esquema com os mesmos fármacos, atingindo remissão completa após um total de 30 doses de vinblastina. Dois anos após o fim do tratamento, mantém-se sem doença.

4 Conclusiones/ Conclusões

Os autores desconhecem qualquer relato de outro caso de HCL em doentes com síndrome de Barth. A pertinência deste caso prende-se com o desafio de tratar HCL num doente com neutropenia cíclica.



SEHOP
SOCIEDAD ESPAÑOLA
DE HEMATOLOGÍA Y ONCOLOGÍA
PEDIÁTRICAS

1^{ER} CONGRESO IBÉRICO DE HEMATOLOGIA Y ONCOLOGIA PEDIATRICAS

virtual

21 Y 23 SEPT 2021
28 Y 30 SEPT

C0193 PROTONTERAPIA EN EL PACIENTE PEDIÁTRICO Y EL ADOLESCENTE: EXPERIENCIA INICIAL DE LA UNIDAD DE PRONTERAPIA DE LA CLÍNICA UNIVERSIDAD DE NAVARRA

Elena Panizo Morgado, Álvaro Lassaletta Atienza (Servicio de Oncología Radioterápica, Clínica Universidad de Navarra, Madrid, España), José Javier Aristu Mendióroz (Servicio de Oncología Radioterápica, Clínica Universidad de Navarra, Madrid, España), Francisco Javier Serrano Andreu (Servicio de Oncología Radioterápica, Clínica Universidad de Navarra, Madrid, España), Felipe Ángel Calvo Manuel (Servicio de Oncología Radioterápica, Clínica Universidad de Navarra, Madrid, España)

1 Objetivos/ Metas

Resumimos la experiencia de los pacientes pediátricos y adolescentes tratados en la Unidad de Protonterapia de la Clínica de la Universidad de Navarra, desde su apertura en mayo de 2020, en plena pandemia COVID-19.

2 Material y Métodos/ Material e métodos

Entre mayo de 2020 y junio de 2021, 49 pacientes pediátricos y adolescentes de toda la geografía española, con excepción de Extremadura y Aragón (y 7 pacientes extranjeros) han recibido tratamiento con protonterapia (30 niñas) La mediana de edad 8,2 años (rango, 1,4 – 19,4). El 54% (27 casos) han requerido anestesia. La mediana de días transcurridos desde la simulación y el inicio del tratamiento han sido 14 días (rango, 6-49). Los tumores más frecuentes han sido: 33 tumores sistema nervioso central (47,8%), destacando 9 meduloblastomas (14%); 13 sarcomas (18,8%); 2 neuroblastomas (2,9%); 1 linfoma (1,4%) y 1 carcinoma nasofaríngeo (1,4%). El 24,6% de los casos fueron pacientes en recaída, 5 de ellos (29,5%) fueron reirradiados. Los tratamientos administrados han sido: 33 focales (66%), 15 craneoespinales (30%), 1 ventricular (2%) y 1 holocraneal 1 (2%). La mediana de dosis ha sido de 54 Gy (rango, 24-72Gy) para tratamientos focales y de 36 Gy (rango, 18-36 Gy) en craneoespinales. Ha habido 23 pacientes que han recibido quimioterapia concomitante (11 de ellos en la CUN).

3 Resultados

Todos los pacientes completaron su plan de tratamiento. La mediana de seguimiento ha sido de 114 días (rango, 4-315). La situación de los pacientes actualmente es: vivos sin enfermedad 44%; en tratamiento activo/pendientes de reevaluación 34%; vivos con enfermedad 14%; fallecidos 6%. La toxicidad ≥ 3 no hematológica se produjo sólo en 4 pacientes (radiodermatitis, infección del catéter venoso central, neutropenia febril, íleo paralítico con colitis por *clostridioides*). Hubo 2 infecciones asintomáticas por COVID19, detectadas en los cribados semanales realizados a todos los pacientes. La toxicidad hematológica ≥ 3 se relacionó con los tratamientos concomitantes. No hubo complicaciones con los dispositivos de derivación ventrículo-peritoneal. Durante el seguimiento 2 pacientes han presentado pseudoprogresión y se encuentran actualmente en tratamiento.

4 Conclusiones/ Conclusões

La apertura de la Unidad de Protonterapia de la CUN ha permitido el acceso a esta modalidad de radioterapia de precisión a la población pediátrica de nuestro país, evitando desplazamientos internacionales. La pandemia COVID19 no ha tenido un impacto en los tratamientos. La protonterapia a corto plazo ha resultado eficaz y bien tolerada. Es necesario el seguimiento a largo plazo de estos pacientes para identificar y tratar posibles efectos secundarios.

C0195 EFFICACY OF DABRAFENIB IN 4 CHILDREN WITH POSITIVE BRAF V600E MUTATION LOW GRADE GLIOMA

MARIA INES CAROCHA FERNANDES ALVES, Luísa Sampaio (Neuroradiology Department at the University Hospital Centre of São João, Porto, Portugal), Jorge Lima (i3S / IPATIMUP, Porto, Portugal), Ana Paula Fernandes (Paediatric Oncology Department at the University Hospital Centre of São João, Porto, Portugal), Susana Nunes (Paediatric Oncology Department at the University Hospital Centre of São João, Porto, Portugal), Maria João Gil-da-Costa (Paediatric Oncology Department at the University Hospital Centre of São João, Porto, Portugal)

1 Objetivos/ Metas

Evaluate the efficacy of Dabrafenib, a specific BRAF V600E kinase inhibitor, in patients with paediatric Low Grade Glioma (pLGG) and BRAF V600E mutation and indication for treatment. Assess safety and tolerability associated with long-term use of Dabrafenib.

2 Material y Métodos/ Material e métodos

Retrospective description of 4 cases of pLGG with BRAF V600E mutation treated with Dabrafenib. Genetic screening was performed using NGS panel (IonTorrent Focus Assay) on all cases based on material availability (tumour biopsy). imaging response assessment was performed considering the latest recommendations from the Response Assessment in Paediatric Neuro-Oncology working group for low-grade gliomas.

3 Resultados

We report 4 cases of paediatric patients with LLG: one Ganglioglioma (GG) and three Pilocytic Astrocitoma (PA). All underwent tumor biopsy and two of them partial resection. For one case of PA and for GG, BRAF inhibitor was used as an upfront therapy while in the remain PA it was considered a rescue therapy (after other schemes of conventional chemotherapy) - when used as the first treatment the mean time to start BRAF inhibitor was 2.3 months; in the other two cases was 90.5 months (7.5 years). The most important response (clinical and radiological) was detected in the first 10 months of therapy, after that time, all of them achieved imaging stability. in the first 6 months there was an overall image mixed response: one had a partial response, one minor response, one had progression followed by partial response and one remained stable. Three patients are still under this therapy - follow-up time ranges from 3.1 and 3.7 years (mean 3.4years). One of them, stopped therapy after 4.5 years. The most important toxicity was grade 1 rash, observed in three of these patients.

4 Conclusiones/ Conclusões

Paediatric LLG bearing BRAF V600E mutation comprise a heterogenous group of tumours with divergent histology, location, cooperating genetic alterations and outcomes. The BRAF V600E status alone is not a sufficient diagnostic or prognostic biomarker of pLGG. BRAF V600E is present in 20% of PA and in 18-50% of GG. Therefore, pLGGs are excellent candidates for personalized approaches.

Our findings support the safety and efficacy of BRAF inhibitors in the treatment of pLGG that bear RAF-activated pathways. Molecularly based therapy is promising and should be considered in tumours that have been molecularly characterized and have rigorous indications for treatment, for recurrent and progressive cases and also for newly diagnosed patients.



SEHOP
SOCIEDAD ESPAÑOLA
DE HEMATOLOGÍA Y ONCOLOGÍA
PEDIÁTRICAS

SOCIEDADE DE HEMATOLOGIA
E ONCOLOGIA PEDIATRICA
DA SOCIEDADE PORTUGUESA DE PEDIATRIA

1^{ER} CONGRESO IBÉRICO DE HEMATOLOGIA Y ONCOLOGIA PEDIATRICAS

virtual

21 Y 23 SEPT 2021
28 Y 30 SEPT

C0198 INFECCIONES POR PNEUMOCYSTIS JIROVECCI EN LEUCEMIA LINFOBLÁSTICA AGUDA EN NIÑOS Y ADOLESCENTES DURANTE LA INDUCCIÓN

Beatriz María Tarabini-Castellani Ciordia, Itziar Astigarraga Aguirre (Unidad de Hematología y Oncología Pediátricas. Servicio de Pediatría, Hospital Universitario Cruces. IIS Biocruces Bizkaia, Barakaldo, Bizkaia.), Rosa Adán Pedroso (Unidad de Hematología y Oncología Pediátricas. Servicio de Pediatría, Hospital Universitario Cruces. IIS Biocruces Bizkaia, Barakaldo, Bizkaia.), Jimena de Pedro Olabari (Unidad de Hematología y Oncología Pediátricas. Servicio de Pediatría, Hospital Universitario Cruces. IIS Biocruces Bizkaia, Barakaldo, Bizkaia.), Aizpea Echebarría Barona (Unidad de Hematología y Oncología Pediátricas. Servicio de Pediatría, Hospital Universitario Cruces. IIS Biocruces Bizkaia, Barakaldo, Bizkaia.), Paula González Urdiales (Unidad de Hematología y Oncología Pediátricas. Servicio de Pediatría, Hospital Universitario Cruces. IIS Biocruces Bizkaia, Barakaldo, Bizkaia.), Miguel García-Ariza (Unidad de Hematología y Oncología Pediátricas. Servicio de Pediatría, Hospital Universitario Cruces. IIS Biocruces Bizkaia, Barakaldo, Bizkaia.), Ricardo López Almaraz (Unidad de Hematología y Oncología Pediátricas. Servicio de Pediatría, Hospital Universitario Cruces. IIS Biocruces Bizkaia, Barakaldo, Bizkaia.)

1 Objetivos/ Metas

Describir y comparar la incidencia de infección por *Pneumocystis jirovecci* (PJ) en pacientes pediátricos diagnosticados y tratados de Leucemia Linfoblástica Aguda (LLA) en un hospital terciario según el momento de inicio de la profilaxis.

2 Material y Métodos/ Material e métodos

Estudio retrospectivo observacional de los pacientes de 1 a 18 años con diagnóstico de LLA tratados en una Unidad de Oncohematología pediátrica que presentaron infección respiratoria por *PJ* durante su proceso. Los pacientes fueron tratados de acuerdo al protocolo nacional vigente para su enfermedad. Se analizan y se comparan las infecciones por *PJ* de los pacientes tratados según los protocolos LAL SHOP 2005 y LAL SEHOP-PETHEMA 2013, con variación en el momento de inicio de la profilaxis como diferencia entre ambos protocolos.

3 Resultados

Ningún paciente de los tratados con el protocolo LAL SHOP 2005 (60 pacientes en total), presentó infección por *PJ*. En este protocolo se iniciaba la profilaxis con cotrimoxazol oral (Septrin®) desde el día + 1 del tratamiento. Desde la instauración del protocolo LAL SEHOP-PETHEMA 2013, con inicio de la profilaxis una vez finalizada la inducción IA y el paciente en remisión completa, en nuestro centro tuvimos dos casos de neumonía por *PJ* (3%; 2 casos de 65 tratados, hasta ese momento) en la fase de inducción (ambos en la transición de la inducción IA a la IB). Los diagnósticos fueron realizados por lavado broncoalveolar (LBA) realizado tras TC patológico por clínica compatible.

4 Conclusiones/ Conclusões

La profilaxis con Cotrimoxazol oral es útil en pacientes pediátricos con diagnóstico de LLA para prevenir la neumonía por *Pneumocystis jirovecci*. El momento de inicio de esta profilaxis ha variado según los protocolos, pero en nuestra experiencia, el inicio precoz de la misma se ha mostrado eficaz para evitar la infección. Tras el segundo caso de infección por este microorganismo, en nuestro centro hospitalario se reinició el tratamiento profiláctico desde el día + 1 del tratamiento, sin presentar nuevos casos hasta la fecha.



SEHOP
SOCIEDAD ESPAÑOLA
DE HEMATOLOGÍA Y ONCOLOGÍA
PEDIÁTRICAS

1^{ER} CONGRESO IBÉRICO DE HEMATOLOGIA Y ONCOLOGIA PEDIATRICAS

virtual

21 Y 23 SEPT 2021
28 Y 30 SEPT

C0201 ESTUDIO FENOTÍPICO DE CÉLULAS NK INFILTRADAS EN MÉDULA ÓSEA (BiNK) EN PACIENTES PEDIÁTRICOS CON LEUCEMIA AGUDA.

Carmen Mestre Durán, Sandra Hidalgo (Fundación Instituto de Investigación Sanitaria Aragón (IIS-Aragón)), Cristina Ferreras (Instituto de Investigación Hospital Universitario La Paz (IdiPAZ), Madrid, España), Cecilia Uranga (Fundación Instituto de Investigación Sanitaria Aragón (IIS-Aragón), Biomedical Research Centre of Aragon (CIBA), 50009 Zaragoza, Spain), Alfonso Navarro Zapata (Instituto de Investigación Hospital Universitario La Paz (IdiPAZ), Madrid, España), Carlota Calvo (Fundación Instituto de Investigación Sanitaria Aragón (IIS-Aragón), Biomedical Research Centre of Aragon (CIBA), 50009 Zaragoza, Spain. Hospital Universitario Miguel Servet. Zaragoza, España.), Laura Clares Villa (Instituto de Investigación Hospital Universitario La Paz (IdiPAZ), Madrid, España), Carla Martín Cortázar (Instituto de Investigación Hospital Universitario La Paz (IdiPAZ), Madrid), Yurena Aguilar (Instituto de Investigación Hospital Universitario La Paz (IdiPAZ), Madrid, España; Fundación Instituto de Investigación Sanitaria Aragón (IIS-Aragón), Biomedical Research Centre of Aragon (CIBA), 50009 Zaragoza, Spain. Hospital Universitario Miguel Servet), Karima Al-akioui (Instituto de Investigación Hospital Universitario La Paz (IdiPAZ), Madrid), Adela Escudero (Instituto de Investigación Hospital Universitario La Paz (IdiPAZ), Madrid, España; Instituto de Genética Médica y Molecular (INGEMM), IdiPAZ, Hospital Universitario La Paz, Madrid, España), Alicia Pernas (Instituto de Investigación Hospital Universitario La Paz (IdiPAZ), Madrid, España; Instituto de Genética Médica y Molecular (INGEMM), IdiPAZ, Hospital Universitario La Paz, Madrid, España), Víctor Galán (Departamento Hematología Pediátrica, Hospital Universitario La Paz, Madrid, España), Pilar Guerra (Departamento Hematología Pediátrica, Hospital Universitario La Paz, Madrid, España), Eva M^a Gálvez (Nanoscience Institute of Aragon (INA), Consejo Superior de Investigaciones Científicas (CSIC), University of Zaragoza, 50018 Zaragoza, Spain), Berta González (Departamento Hematología Pediátrica, Hospital Universitario La Paz, Madrid, España), Ariel Ramírez Labrada (Fundación Instituto de Investigación Sanitaria Aragón (IIS-Aragón), Biomedical Research Centre of Aragon (CIBA), 50009 Zaragoza, Spain. Unidad de nanotoxicología e inmunotoxicología experimental (UNATI). Fundación Instituto de Investigación Sanitaria Ara), Julián Pardo (Fundación Instituto de Investigación Sanitaria Aragón (IIS-Aragón), Biomedical Research Centre of Aragon (CIBA), 50009 Zaragoza, Spain. Aragon I+D Foundation (ARAIID), Zaragoza, Spain.), Antonio Pérez Martínez (Instituto de Investigación Hospital Universitario La Paz (IdiPAZ), Madrid, España. Departamento Hematología Pediátrica, Hospital Universitario La Paz, Madrid, España)

1 Objetivos/ Metas

El objetivo de este estudio es evaluar el fenotipo y papel de las células NK infiltradas en médula ósea (BiNK) en pacientes con LLA y LMA.

2 Material y Métodos/ Material e métodos

Se recogieron células mononucleares de médula ósea (BMMCs) procedentes de pacientes pediátricos con LLA-B (n=16) y LMA (n=4) en el Hospital Universitario La Paz. Se monitorizaron y analizaron las BiNK en el diagnóstico, seguimiento y recaída de la enfermedad. Se analizó su fenotipo mediante citometría de flujo, comprobando la expresión en superficie de los siguientes receptores activadores e inhibidores: CD56, CD3, CD16, NKG2D, NKp44, NKp4 6, CD69, CD57, TIM-3, LAG-3, PD-1. Se examinaron también 3 ligandos de las células BiNK presentes en las células blásticas de los pacientes: PD-1, LAG-3 y TIM-3. Se estudió además la capacidad funcional de las células BiNK a través del ensayo de degranulación CD107a, por citometría de flujo.

3 Resultados

Los pacientes con LLA mostraron niveles similares de células BiNK en las diferentes fases del estudio, mientras que los pacientes con LMA presentaron una menor infiltración de las células BiNK durante el seguimiento y recaída de la enfermedad. Al diagnóstico se observa una alta expresión de los receptores activadores NKp46, NKG2D y CD57, mientras que los receptores inhibidores muestran una baja expresión en LLA y LMA. Los ligandos de los receptores inhibidores de células BiNK se encuentran altamente expresados en las células blásticas en pacientes con LLA y LMA. Durante el seguimiento de la enfermedad, la subpoblación CD56+ CD16- en las células BiNK de pacientes con LMA presentan una reducción de los receptores activadores. En el contexto de la recaída, las células BiNK muestran una expresión disminuida de NKG2D en pacientes con LLA y LMA. Los receptores inhibidores mantienen una expresión baja a excepción la LMA en recaída, donde se observa un aumento de la expresión de TIM-3 en las células BiNK. Esto se corresponde con una elevada expresión de su ligando, Galectina-9, en las células blásticas. No obstante, los ligandos analizados disminuyen respecto al diagnóstico en los pacientes con LLA, a excepción de Galectina-9. La capacidad de degranulación de las células BiNK se mantiene en los pacientes con LLA y LMA en recaída respecto al diagnóstico.



SEHOP
SOCIEDAD ESPAÑOLA
DE HEMATOLOGÍA Y ONCOLOGÍA
PEDIÁTRICAS

1^{ER} CONGRESO IBÉRICO DE HEMATOLOGIA Y E ONCOLOGIA PEDIATRICAS *virtual* 21 Y 23 SEPT 2021 28 Y 30 SEPT

4 Conclusiones/ Conclusões

Las células BiNK procedentes de pacientes con leucemia aguda muestran gran heterogeneidad en la expresión de receptores. Los pacientes con LMA presentan una menor infiltración de células BiNK, así como una escasa capacidad de degranulación en el diagnóstico y recaída de la enfermedad.



SEHOP
SOCIEDAD ESPAÑOLA
DE HEMATOLOGÍA Y ONCOLOGÍA
PEDIÁTRICAS

1^{ER} CONGRESO IBÉRICO DE HEMATOLOGÍA Y ONCOLOGÍA PEDIÁTRICAS

virtual

21 Y 23 SEPT 2021
28 Y 30 SEPT

C0202 CAR-T NKG2D COMO TRATAMIENTO DEL NEUROBLASTOMA

Alfonso Navarro Zapata, Adrián Fernández (Centro Nacional de Investigaciones Oncológicas (CNIO), Madrid, España), Rima Regojo (Servicio de Anatomía Patológica del Hospital Universitario La Paz, Madrid, España), Laura Clares Villa (Instituto de Investigación Hospital Universitario La Paz (IdiPaz). Madrid, España, Madrid, España), Carmen Mestre Durán (Instituto de Investigación Hospital Universitario La Paz (IdiPaz). Madrid, España, Madrid, España), Carla Martín Cortázar (Instituto de Investigación Hospital Universitario La Paz (IdiPaz). Madrid, España, Madrid, España), Karima Al-Akioui (Instituto de Investigación Hospital Universitario La Paz (IdiPaz). Madrid, España, Madrid, España), Cristina Ferreras (Instituto de Investigación Hospital Universitario La Paz (IdiPaz). Madrid, España, Madrid, España), Lucía Fernández (Centro Nacional de Investigaciones Oncológicas (CNIO), Madrid, España), Antonio Pérez Martínez (Servicio de Hemato-oncología pediátrica del Hospital Universitario La Paz, Madrid, España)

1 Objetivos/ Metas

El **neuroblastoma** (NB) representa el 11% de la mortalidad causada por el cáncer pediátrico en pacientes menores de 15 años. El receptor *Natural Killer Group 2D* (**NKG2D**) se expresa en células citotóxicas del sistema inmunológico. Sus ligandos (**NKG2DL**) están regulados positivamente en muchos tipos de cáncer, incluido el neuroblastoma, y participan en el control inmunológico del tumor. Sin embargo, las células de neuroblastoma también pueden desarrollar mecanismos de resistencia a la lisis celular mediada por NKG2D, como la liberación de NKG2DL en forma soluble. Linfocitos modificados CAR-T NKG2D podrían superar la evasión inmunitaria y convertirse en una terapia eficaz para tratar el neuroblastoma.

El **objetivo** es determinar la eficacia de linfocitos CAR-T NKG2D frente a las células de neuroblastoma.

2 Material y Métodos/ Material e métodos

- La expresión de NKG2DL se analizó en 9 líneas celulares de neuroblastoma mediante citometría de flujo.
- Se evaluó mediante inmunohistoquímica la expresión de NKG2DL en 8 muestras de neuroblastomas primarios de alto riesgo.
- Se aislaron linfocitos T CD45RA- a partir de buffy coats.
- Los linfocitos CAR-T NKG2D se generaron mediante transducción lentiviral de linfocitos T CD45RA-.
- La citotoxicidad del CAR-T NKG2D frente a células de neuroblastoma se evaluó in vitro mediante ensayos de Europium-TDA. Se bloqueó la citotoxicidad específica mediante anticuerpos de NKG2DL.
- La liberación de ligandos solubles de las líneas de neuroblastoma se cuantificó mediante ensayo ELISA.
- La sobreexpresión del ligando MICA en líneas de neuroblastoma se realizó mediante transducción lentiviral.

3 Resultados

Todas las líneas celulares de neuroblastoma analizadas mostraron **expresión heterogénea** de al menos un tipo de NKG2DL (MFI \geq 1,5). De hecho, se encontró heterogeneidad también en las muestras de neuroblastomas primarios. Los linfocitos CAR-T NKG2D fueron **citotóxicos frente a 2/9 líneas** celulares de neuroblastoma, mientras que las otras líneas celulares mostraron resistencia a la lisis. Se encontró **liberación heterogénea de NKG2DL en forma soluble** en las líneas de neuroblastoma. La **sobreexpresión** del ligando **MICA** en líneas celulares de neuroblastoma resistentes **permitió la lisis** mediada por el CAR-T NKG2D

4 Conclusiones/ Conclusões

Las líneas celulares de neuroblastoma analizadas expresan algún tipo de NKG2DL, pero solamente 2 fueron susceptibles a la lisis mediada por linfocitos CAR-T NKG2D. La concentración de NKG2DL soluble podría explicar parcialmente la resistencia observada. Las células de neuroblastoma se volvieron susceptibles a la lisis del CAR-T NKG2D después de la sobreexpresión de MICA.



SEHOP
SOCIEDAD ESPAÑOLA
DE HEMATOLOGÍA Y ONCOLOGÍA
PEDIÁTRICAS

SOCIEDADE DE HEMATOLOGIA
E ONCOLOGIA PEDIATRICA
DA SOCIEDADE PORTUGUESA DE PEDIATRIA

1^{ER} CONGRESO IBÉRICO DE HEMATOLOGIA Y ONCOLOGIA PEDIATRICAS

virtual

21 Y 23 SEPT 2021
28 Y 30 SEPT

C0204 DOS CASOS DE DÉFICIT DE PIRUVATO CINASA (PK) FAMILIAR CON FORMAS DE PRESENTACIÓN DIFERENTES

María Nazaret Sanchez Sierra, Sheila Cenzano Ruiz (Pediatria. Hospital Clínico Universitario de Valladolid, Valladolid, España), Raquel Herraiz Cristóbal (Oncohematología Infantil. Hospital Clínico Universitario de Valladolid, Valladolid, España.), José Luis Moreno Carrasco (Oncohematología Infantil. Hospital Clínico Universitario de Valladolid, Valladolid, España.), Hermenegildo González García (Oncohematología Infantil. Hospital Clínico Universitario de Valladolid, Valladolid, España.)

1 Objetivos/ Metas

El déficit de PK es la causa más frecuente de anemia hemolítica congénita no esferocítica. Herencia autosómica recesiva por mutaciones en gen PKLR (1q22). Características fenotípicas variables: desde anemia grave de inicio neonatal hasta hemólisis compensada sin anemia aparente. Las complicaciones asociadas a la hemólisis (colecistitis, úlceras, déficit de ácido fólico o sobrecarga férrica secundaria a transfusiones) son frecuentes.

2 Material y Métodos/ Material e métodos

Presentamos dos casos familiares de anemia por déficit de PK.

3 Resultados

Caso 1: Mujer, 2 meses, remitida por estancamiento ponderal y palidez concomitante. No antecedentes de interés. Destaca: palidez cutáneo-mucosa, soplo sistólico II/VI, reborde hepático, resto normal. Analítica sanguínea: anemia normocítica-normocrómica regenerativa, resto de series normales, haptoglobina disminuida con test de Coombs directo (TCD) negativo. Resto de estudio negativo (sangre oculta en heces, electroforesis hemoglobinas, frotis sanguíneo, serologías, test EMA, glucosa-6-fosfato-deshidrogenasa (G6PDH), resistencia osmótica, PK eritrocitaria). En aspirado de médula ósea (AMO) se objetiva hiperplasia de serie roja con rasgos diseritropoyéticos. Ante sospecha de déficit de PK se solicita cociente PK/hexocinasa (HK) que se encuentra muy disminuido y confirma el diagnóstico. Estudio en padres negativo. Evolución favorable con episodios de anemización en contexto infeccioso (tres transfusiones de concentrado de hematíes hasta la actualidad, 3 años de edad).

Caso 2: Mujer, 8 horas de vida, ingresada por hiperbilirrubinemia en rango terapéutico. AF: Padres consanguíneos sanos. Prima hermana con anemia por déficit de PK (caso 1). Exploración física: polipnea marcada, ictericia mucocutánea generalizada, soplo sistólico II/VI, hepato-esplenomegalia de 2-3 cm, resto normal. Recibe fototerapia intensiva y transfusión de concentrado de hematíes, precisando exanguinotransfusión a las 24 horas de vida hasta mejoría clínica y analítica. Persistencia en controles posteriores de anemia con datos de hemólisis (reticulocitos elevados, aumento de LDH y bilirrubina indirecta, haptoglobina disminuida), leucocitos y plaquetas normales. Resto de estudios negativos (TCD, serologías, electroforesis hemoglobinas, frotis sanguíneo, AMO). Realizado estudio de enzimopatías en tres ocasiones con resultado no valorable por alta dependencia hipertransfusional. Diagnóstico genético compatible con déficit de PK. Actualmente: seguimiento periódico estrecho, portadora de vía central tipo Port-a-Cath®, precisa soporte transfusional cada 4-5 semanas. Sobrecarga férrica hepática elevada en tratamiento quelante.

4 Conclusiones/ Conclusões

Aunque la confirmación de déficit de PK requiere una cuantificación enzimática, ésta a veces es difícil de realizar y supone retrasos diagnósticos, por lo que puede ser útil la realización de pruebas genéticas. El tratamiento continúa siendo sintomático (transfusiones, quelación, esplenectomía) aunque el trasplante de progenitores hematopoyéticos y la terapia génica se plantean como alternativas futuras curativas.



SEHOP
SOCIEDAD ESPAÑOLA
DE HEMATOLOGÍA Y ONCOLOGÍA
PEDIÁTRICAS

SOCIEDADE DE HEMATOLOGIA
E ONCOLOGIA PEDIATRICA
DA SOCIEDADE PORTUGUESA DE PEDIATRIA

1^{ER} CONGRESO IBÉRICO DE HEMATOLOGIA Y ONCOLOGIA PEDIATRICAS

virtual

21 Y 23 SEPT 2021
28 Y 30 SEPT

C0206 RADIÓMICA Y BIOMARCADORES DE IMAGEN EN CÁNCER INFANTIL: PUESTA EN MARCHA DEL PROYECTO PRIMAGE.

Blanca Martínez de las Heras, Adela Cañete Nieto (Sección de Oncohematología pediátrica, Hospital Universitario y Politécnico La Fe, Valencia, España), Leonor Cerdá Alberich (Grupo de Investigación Biomédica de Imagen, Instituto de Investigación Sanitaria La Fe, Valencia, España), Vanessa Segura Caballer (Oncología infantil, Instituto de Investigación Sanitaria La Fe, Valencia, España), Ana Jimenez Pastor (QUIBIM S.L., Valencia, España), Carlos Baeza Delgado (Grupo de Investigación Biomédica de Imagen, Instituto de Investigación Sanitaria La Fe, Valencia, España), Gracia Martí Besa (Grupo de Investigación Biomédica de Imagen, Instituto de Investigación Sanitaria La Fe, Valencia, España), Luis Martí-Bonmati (Área Clínica de Imagen Médica, Hospital Universitario y Politécnico La Fe, Valencia, España)

1 Objetivos/ Metas

PRIMAGE (PRedictive In-silico Multiscale Analytics to support cancer personalized diagnosis and prognosis, Empowered by imaging biomarkers), de financiación europea, es un proyecto de I+D+I de Radiología, Big Data e Inteligencia Artificial (IA) en dos tipos de tumores infantiles, el neuroblastoma (NB) y el glioma difuso intrínseco de puente (DIPG), en cuyo diagnóstico, pronóstico y evaluación son determinantes la información proporcionada por las imágenes de resonancia magnética multiparamétrica (RM). PRIMAGE tiene como objetivo la creación de una herramienta de ayuda clínica en la toma de decisiones para el manejo del NB y DIPG a modo de plataforma digital abierta. Presentamos los principales logros obtenidos desde su aprobación en diciembre de 2018.

2 Material y Métodos/ Material e métodos

PRIMAGE es un estudio observacional retrospectivo a partir de datos clínicos, biológicos y de imagen del mundo real de niños diagnosticados y tratados de NB y DIPG desde el año 2002. Se utilizarán bases de datos de ensayos clínicos desarrollados por la Sociedad Internacional de Oncología Pediátrica de Neuroblastoma Europea, la Sociedad de Oncología y Hematología Pediátrica Alemana y datos de pacientes de centros colaboradores nacionales e internacionales. Se emplearán técnicas de procesamiento de imagen e IA que incluirán el desarrollo y validación de modelos predictivos de *Machine Learning* para predecir comportamiento tumoral *in-silico* a partir de la integración de biomarcadores de imagen y biológicos con factores pronósticos conocidos.

3 Resultados

Se ha obtenido la resolución de la Agencia Española del Medicamento y Productos Sanitarios (AEMPS), la aprobación de los Comités Éticos necesarios y se ha comenzado el reclutamiento de casos, cumpliendo con el Reglamento General de Protección de Datos (RGPD). Se ha diseñado la plataforma que ejerce de repositorio y de herramienta de análisis y se han incorporado más de 300 casos. Realizando un primer análisis de la heterogeneidad tumoral a partir del cálculo de incertidumbres y mapas de confianza se han encontrado diferencias significativas en el valor medio del coeficiente aparente de difusión (ADC) que distinguen tumores neuroblásticos (ganglioneuroma y ganglioneuroblastoma intermedio vs ganglioneuroblastoma nodular y neuroblastoma).

4 Conclusiones/ Conclusões

La puesta en marcha de un proyecto como PRIMAGE, formado por un consorcio que involucra a distintos países y requiere de datos del mundo real que no están bien estructurados ni accesibles de forma inicial, resulta de gran complejidad. El éxito dependerá del buen control de calidad y procesamiento de los datos para conseguir robustez y reproducibilidad en los resultados.



SEHOP
SOCIEDAD ESPAÑOLA
DE HEMATOLOGÍA Y ONCOLOGÍA
PEDIÁTRICAS

1^{ER} CONGRESO IBÉRICO DE HEMATOLOGIA Y ONCOLOGIA PEDIATRICAS

virtual

21 Y 23 SEPT 2021
28 Y 30 SEPT

C0209 RECALL INDUCIDO POR GEMCITABINA/DOCETAXEL EN EL PACIENTE PEDIÁTRICO

Cristina Larrosa Espinosa, Mónica Sanchez Celma (Servicio de Farmacia Hospitalaria, Hospital Sant Joan de Déu, Barcelona), Soraya Mico Milla (Servicio de Radioterapia Oncológica, Hospital Vall d'Hebron, Barcelona, España), Andrea Urtasun Erburu (Unidad de Oncología, Hospital Sant Joan de Déu, Barcelona, España.), Cristina Rivera Perez (Unidad de Oncología Pediátrica, Hospital Sant Joan de Déu, Barcelona, España), Monica Ramos Albiac (Servicio de Radioterapia Oncológica, Hospital Vall d'Hebron, Barcelona, España), Moira Garraus Oneca (Unidad Oncología Pediátrica, Hospital Sant Joan de Déu Barcelona, España)

1 Objetivos/ Metas

Determinar la prevalencia de recall en pacientes tratados con la combinación de gemcitabina y docetaxel. Describir las características, el manejo y evolución de estos episodios en esta población.

2 Material y Métodos/ Material e métodos

Estudio retrospectivo descriptivo mediante la revisión de historias clínicas de pacientes tratados con gemcitabina/docetaxel posterior a a radioterapia. Se obtuvo la información clínica correspondiente a variables demográficas, dosis y tiempo de administración de citostáticos y radioterapia, desarrollo de recall y tiempo de aparición, y características relativas al mismo (gravedad, prueba diagnóstica, tratamiento con corticoides sistémicos, respuesta a tratamiento corticoideo).

3 Resultados

Del total de pacientes revisados que habían recibido la combinación (32), 24 pacientes habían sido radiados previamente y disponíamos de los datos relativos a dosis de radiación y quimioterapia.

El 52% eran varones (n=13) y el 48% mujeres (n=12). La edad media para el grupo *no recall* y *recall* fue de 12,28 años y 12,3 años respectivamente, rango de 5-17 años para ambos grupos. La distribución por tumores fue: 72% (n=18) Sarcoma de Ewing, rhabdomyosarcoma (n=3), osteosarcoma (n=1), neuroblastoma (n=1) y condrosarcoma (n=1).

El 68% (n=17) desarrollaron cuadro compatible con *recall*. Sólo 4 tuvieron afectación exclusivamente cutánea, la mayoría (77,7%) presentaron afectación más allá de la dermis, fundamentalmente miositis y celulitis, pero también con afectación de órganos profundos en 3 casos: taponamiento cardiaco (n=1), derrame pleural (n=1) y neumonitis (n=1).

En el 61% de los pacientes (n=11) se utilizó una prueba de imagen para su diagnóstico siendo la ecografía la técnica más utilizada (n=5), seguida de la resonancia magnética (n=4) y el TC (n=3).

El 61% (n=11) de los pacientes recibieron corticoides sistémicos, principalmente dexametasona (n=9), con una dosis media total de 13,6mg/m² por ciclo de tratamiento. De los pacientes que recibieron dexametasona, 2 presentaron resolución completa de la lesión sin reproducción posterior, 4 mejoría parcial y 3 no mejoraron. El tratamiento con metilprednisolona fue utilizado en dos pacientes, logrando la resolución de la lesión en uno de ellos. Otros tratamientos usados fueron: antibioterapia (n=3), reducción de dosis de citostático (n=6) y cambio de línea de tratamiento quimioterápico (n=2). De los reexpuestos (n=15), el 88% volvió a presentar recall. En total, 9 pacientes cambiaron de línea de tratamiento, de los cuales 8 progresaron.

4 Conclusiones/ Conclusões

La prevalencia de recall en nuestra serie (68%) es mucho más alta que la descrita para el uso en monoterapia de ambos agentes.

Típicamente afecta a tejidos profundos (77,7%).

La respuesta a corticoides es muy variable. Un 81% presentaron de nuevo recall con la reexposición al citostático.



SEHOP
SOCIEDAD ESPAÑOLA
DE HEMATOLOGÍA Y ONCOLOGÍA
PEDIÁTRICAS

1^{ER} CONGRESO IBÉRICO DE HEMATOLOGÍA Y ONCOLOGÍA PEDIÁTRICAS

virtual

21 Y 23 SEPT 2021
28 Y 30 SEPT

C0211 PAPEL DE LA BIOLOGÍA MOLECULAR EN EL SEGUIMIENTO DE LAS LEUCEMIAS MIELOIDES AGUDAS T(8;21)(Q22;Q22.1);RUNX1-RUNX1T1 EN PEDIATRÍA

Cristina Rivera Pérez, Sara Montesdeoca Romero (Hospital Sant Joan de Déu, Esplugues de Llobregat, Barcelona, España.), Nuria Conde Cuevas (Hospital Sant Joan de Déu, Esplugues de Llobregat, Barcelona, España.), Marina Caballero Bellon (Hospital Sant Joan de Déu, Esplugues de Llobregat, Barcelona, España.), Cristina Larrosa Espinosa (Hospital Sant Joan de Déu, Esplugues de Llobregat, Barcelona, España.), Mireia Camós Guijosa (Hospital Sant Joan de Déu, Esplugues de Llobregat, Barcelona, España.), Albert Català Temprano (Hospital Sant Joan de Déu, Esplugues de Llobregat, Barcelona, España.), Montserrat Torredadell Burriel (Hospital Sant Joan de Déu, Esplugues de Llobregat, Barcelona, España.)

1 Objetivos/ Metas

Actualmente la mayoría de pacientes con leucemia mieloblástica aguda (LMA) alcanzan remisión completa. La detección de enfermedad residual medible (ERM) por citometría de flujo (CF) en fases precoces del tratamiento es un potente predictor pronóstico, pero hasta un 30% de los pacientes con buena respuesta recaen. El seguimiento de la ERM por técnicas moleculares puede ayudar a identificar pacientes de mayor riesgo.

Objetivos

Revisión del seguimiento de la ERM por CF y PCR cuantitativa (RT-qPCR) de los casos de LMA con t(8;21)(q22;q22.1);RUNX1-RUNX1T1 diagnosticados en nuestro centro.

2 Material y Métodos/ Material e métodos

Estudio retrospectivo de 4 pacientes diagnosticados de LMA con t(8;21)(q22;q22.1);RUNX1-RUNX1T1 desde 2008. La ERM se siguió por CF de 4 y 8 colores y RT-qPCR del gen de fusión RUNX1-RUNX1T1.

3 Resultados

	Paciente 1	Paciente 2	Paciente 3	Paciente 4
Edad (años)	5	15	14	14
Tratamiento inicial	SHOP-LMA-2007	SHOP-LMA-2007	SHOP-LMA-2007	NOPHO-AML-DBH-2012
Fin tratamiento	Positiva/Positiva	Negativa/Positiva	Negativa/Negativa	Negativa/Positiva MO y SP
ERM (+3meses)	Positiva/Positiva	-	-	Positiva/Positiva
ERM (CF/RT-qPCR) (+6meses)	Positiva/Positiva	Negativa/Positiva	-	Positiva/Positiva
(+9meses)	-	Negativa/Positiva	Positiva/Positiva	-
(+12meses)	Negativa/Negativa	Negativa/Positiva	-	-
(+24meses)	Negativa/Negativa	Negativa/Negativa	-	-
Recaída morfológica	No	No	Sí, +9 meses	Sí, +3 meses
Evolución	Incremento molecular	de Eliminación lenta	Recaída	Recaída
Tratamiento posterior	Gemtuzumab	No	FLAG-IDA	Refractario a tres líneas de rescate (FLA+Dauno, TVTC, Venotoclastax+Aza)
Trasplante alogénico	No	No	Sí	No
Estado	Vivo, +11años	Vivo, +10 años	Viva, +5 años	Muerto

4 Conclusiones/ Conclusões

Se ha descrito que la persistencia de ERM con bajo número de copias de RUNX1-RUNX1T1 tras finalizar tratamiento carece de valor predictivo de recaída en algunas situaciones (paciente 2). Sin embargo, una cinética ascendente de ERM por RT-qPCR define las recaídas moleculares y puede tener importancia



SEHOP
SOCIEDAD ESPAÑOLA
DE HEMATOLOGÍA Y ONCOLOGÍA
PEDIÁTRICAS

1^{ER} CONGRESO IBÉRICO DE HEMATOLOGÍA Y ONCOLOGÍA PEDIÁTRICAS *virtual* 21 Y 23 SEPT 2021 28 Y 30 SEPT

pronóstica (pacientes 1 y 4). No está claro si las intervenciones terapéuticas en estas situaciones se traducirán en mayor supervivencia.

Varios estudios señalan buena correlación entre ERM en médula ósea (MO) y sangre periférica (SP) (paciente 4), pudiendo tener mayor valor predictivo en SP. El paciente 3 recayó a pesar de la negatividad precoz de la ERM por CF y RT-qPCR. El seguimiento molecular en SP podría ayudar a identificar precozmente a pacientes en recaída molecular, permitiendo diseñar intervenciones terapéuticas antes de la recaída franca.

En conclusión, la implementación y homogeneización del seguimiento molecular en LMA, complementa a métodos ya existentes y puede redundar favorablemente en la supervivencia de estos pacientes.



SEHOP
SOCIEDAD ESPAÑOLA
DE HEMATOLOGÍA Y ONCOLOGÍA
PEDIÁTRICAS

1^{ER} CONGRESO IBÉRICO DE HEMATOLOGÍA Y ONCOLOGÍA PEDIÁTRICAS

virtual

21 Y 23 SEPT 2021
28 Y 30 SEPT

C0213 ¿SON SEGURAS LAS TRANSFUSIONES DE HEMATÍES EN PEDIATRÍA?

Aurora Eslava Carrión, Griselda Vallés Cardona (Servicio de Pediatría, Unidad de Hematología Pediátrica. Hospital Universitario Parc Taulí. Sabadell, España), Immaculada Roig Martínez (Servicio Hematología y Hemoterapia. Hospital Universitario Parc Taulí. Sabadell, España.), Anna Gelman Bagaria (Servicio de Pediatría, Hospital Universitario Parc Taulí. Sabadell, España), Ana María Pérez Benito (Servicio de Pediatría, Hospital Universitario Parc Taulí. Sabadell, España), Josefa Rivera Luján (Servicio de Pediatría, Hospital Universitario Parc Taulí. Sabadell, España)

1 Objetivos/ Metas

Las transfusiones de hematíes no están exentas de complicaciones. Una adecuada educación del personal médico en la prevención de errores y en el manejo de las reacciones adversas es fundamental. El objetivo del presente estudio es cuantificar las complicaciones de las transfusiones de hematíes, analizar las características y el manejo terapéutico además de comprobar su declaración al Banco de Sangre.

2 Material y Métodos/ Material e métodos

Estudio observacional descriptivo retrospectivo. Se han seleccionado pacientes menores de 18 años que precisaron transfusión de hematíes desde enero de 2016 a diciembre de 2020. Se ha evaluado la presencia de reacción inmediata definida como efecto secundario iniciado en las 24 horas posteriores a la transfusión. Se han descrito las principales características de la reacción transfusional, la orientación diagnóstica, el tratamiento aplicado y la declaración del evento.

3 Resultados

Se han analizado 661 transfusiones de hematíes de 198 pacientes (61,1% varones), con una mediana de edad de 2 años. Las patologías que motivaron el procedimiento fueron: infecciosa (22,7%), hematológica (15,7%), oncológica aguda (14,1%), quirúrgica (12,6%) y traumática (10,6%), siendo menos frecuentes las indicaciones por patología digestiva (5,6%) u otras enfermedades crónicas (4%). El 14,6% restante se indicaron por otras causas. Se produjo reacción inmediata en el 2,4% de las transfusiones. Todas ellas fueron leves (resolución dentro de las primeras 4 horas con tratamiento médico sintomático). Un 50% fueron reacciones febriles no hemolíticas, el 25% *Transfusion-Associated Circulatory Overload* (TACO) y un 12,5% reacciones alérgicas, el resto no fueron filiadas. A pesar de que todas ellas fueron identificadas por el personal, ninguna de las reacciones transfusionales fue declarada al Banco de Sangre. No hubo una orientación diagnóstica específica en el 87,5% de los casos. En el 81,3% de casos el tratamiento médico aplicado fue incompleto, siendo el error más común la no suspensión inmediata temporal de la transfusión tras identificar la reacción.

4 Conclusiones/ Conclusões

Las transfusiones sanguíneas son procedimientos seguros con un bajo índice de reacciones adversas, siendo la mayoría reacciones transfusionales leves. Esto conlleva, en ocasiones, a que el personal implicado subestime la importancia de su detección y declaración a pesar de la optimización de los sistemas de hemovigilancia. Concienciar a los equipos responsables e incorporar como indicador cualitativo el registro de las reacciones transfusionales es esencial para evitar la infraestimación de efectos secundarios y garantizar así la seguridad del paciente en transfusiones presentes y futuras.



SEHOP
SOCIEDAD ESPAÑOLA
DE HEMATOLOGÍA Y ONCOLOGÍA
PEDIÁTRICAS

1^{ER} CONGRESO IBÉRICO DE HEMATOLOGÍA Y ONCOLOGÍA PEDIÁTRICAS

virtual

21 Y 23 SEPT 2021
28 Y 30 SEPT

C0214 RESULTADOS DEL CRIBADO UNIVERSAL DE HEMOGLOBINOPATÍAS EN LA PROVINCIA DE HUELVA.

PILAR VELARDE LOPEZ DE AYALA, ROCÍO ZAPATA BAUTISTA (UNIDAD DE HEMATOLOGÍA Y HEMOTERAPIA. HOSPITAL JUAN RAMÓN JIMÉNEZ. HUELVA. ESPAÑA), KAROL GÓMEZ CORRECHA (UNIDAD HEMATOLOGÍA Y HEMOTERAPIA. HOSPITAL JUAN RAMÓN JIMÉNEZ. HUELVA. ESPAÑA), ANA ROSA CARRANCO FALCÓN (UNIDAD HEMATOLOGÍA Y HEMOTERAPIA. HOSPITAL JUAN RAMÓN JIMÉNEZ. HUELVA. ESPAÑA), BIANCA DÍAZ ROLDÁN (UNIDAD HEMATOLOGÍA Y HEMOTERAPIA. HOSPITAL JUAN RAMÓN JIMÉNEZ. HUELVA. ESPAÑA.), ANTONIO PALMA VALLELLANO (UNIDAD HEMATOLOGÍA Y HEMOTERAPIA. HOSPITAL JUAN RAMÓN JIMÉNEZ. HUELVA. ESPAÑA)

1 Objetivos/ Metas

El cribado universal (CU) de enfermedad de células falciformes (ECF) se incorporó en noviembre-2018 al Cribado Neonatal de Enfermedades Endocrino-Metabólicas de Andalucía. Esta enfermedad cumple los 6 criterios dictados en 1975 por el "Committee on Screening for Inborn Errors of Metabolism" incluyendo incidencia mayor de 1:10.000-15.000 Recién Nacidos (RN) vivos (Incidencia en Andalucía > 1:11000). El CU versus dirigido está aún discutido. Nuestro objetivo es determinar la incidencia de ECF y otras variantes de hemoglobina en RN de procedencia española y extranjera en la provincia de Huelva desde diciembre-2019 hasta diciembre-2020.

2 Material y Métodos/ Material e métodos

Estudio retrospectivo de los RN en la provincia de Huelva según los datos del Instituto Nacional de Estadística (INE) desde diciembre-2019 hasta diciembre-2020. Las muestras de sangre fueron obtenidas en "la prueba del talón" a partir de las 48 horas de vida y se analizaron por Cromatografía Líquida de alta Resolución (HPLC). Los resultados se confirmaron con nueva muestra obtenida por venopunción analizándose por HPLC y electroforesis capilar. Los pacientes con ECF serán aquéllos con anemia falciforme homocigota (SS) o doble heterocigota (SD, SC, S/Beta0).

3 Resultados

Se incluyeron 4416 RN. Se detectaron 48/4416 (Incidencia 10,8:1000) RN con hemoglobinopatías: 13/48 (27%) de procedencia española y 34/48 (70,8%) de procedencia extranjera. Se diagnosticaron 3/4416 RN de ECF (Incidencia de 0,6:1000): 2 homocigotos (procedencia extranjera) y 1 heterocigoto (SD) (madre española y padre extranjero). Se detectaron 28/4416 (6:1000) RN con rasgo falciforme (17 extranjeros, 8 españoles), 8/4416 (2:1000) portadores de Hb C (7 extranjeros, 1 español), 3/416 (0,6:1000) compatibles con Hb C/talasemia (procedencia extranjera), 2/4416 (0,5:1000) portadores de Hb O-arab, 1/4416 (0,2:1000) portador de Hb Philadelphia, 1/4416 (0,2:1000) portador de Hb D y 2 portadores de variantes no identificada en heterocigosis. Las zonas de procedencia extranjera fueron: 31/34 (91%) de región norteafricana y 3/34 (8%) de América central.

4 Conclusiones/ Conclusões

Se describe una incidencia de 1:6000 RN vivos para un screening de ECF coste-efectivo. Nuestra incidencia es 6 veces mayor, el coste-efectividad es evidente. 13/48 (27%) de los portadores y 1/3 (33%) de los enfermos tenían procedencia española por lo nuestros resultados muestran la importancia del CU. La incidencia de ECF en Huelva es mayor que la descrita en España (0.11:1000), Andalucía (0.14:1000), Madrid (0.16:1000) e Islas Baleares (0.15:1000), esto guarda relación con los flujos migratorios en la provincia de Huelva. Esperamos que el cribado de ECF disminuya la morbilidad y mortalidad asociada a esta enfermedad y confiamos en poder probar esta hipótesis en el futuro.



SEHOP
SOCIEDAD ESPAÑOLA
DE HEMATOLOGÍA Y ONCOLOGÍA
PEDIÁTRICAS

SOCIEDADE DE HEMATOLOGIA
E ONCOLOGIA PEDIATRICA
DA SOCIEDADE PORTUGUESA DE PEDIATRIA

1^{ER} CONGRESO IBÉRICO DE HEMATOLOGIA Y ONCOLOGIA PEDIATRICAS

virtual

21 Y 23 SEPT 2021
28 Y 30 SEPT

C0215 EVALUACIÓN DE RIESGO CARDIOMETABÓLICO EN PACIENTES SUPERVIVIENTES DE CÁNCER

Manuel Vaqueiro Graña, Lucía Carmichael Vantsis (*Medicina Familiar y Comunitaria. Hospital Son Llàtzer. Palma de Mallorca. España*), María Tallón García (*Pediatría, Hospital Universitario Álvaro Cunqueiro, Vigo, España*), José Ramón Fernández Lorenzo (*Instituto de Investigación Sanitaria Galicia Sur. Hospital Universitario Álvaro Cunqueiro, Vigo, España*)

1 Objetivos/ Metas

Evaluar las características cardiometabólicas de los pacientes supervivientes de cáncer infantil una vez finalizado el tratamiento. Analizar si los pacientes que han sobrevivido al cáncer durante la infancia desarrollan alteraciones metabólicas y/o cardiovasculares mediante la estimación de factores de riesgo cardiometabólico una vez finalizado el tratamiento y comparar los valores de la antropometría obtenidos mediante la exploración física con los hallados con la impedanciometría bioeléctrica.

2 Material y Métodos/ Material e métodos

Estudio descriptivo longitudinal observacional retrospectivo. Se incluyen pacientes supervivientes afectos de neoplasias subsidiarias de tratamiento quimioterápico en el área sanitaria de Vigo con ≥ 1 año de remisión.

3 Resultados

Se incluyeron un total de 43 sujetos, 58% varones con una edad media al diagnóstico de 5,51 años y una edad actual media de 11,26 años, junto con una mediana de remisión de 4 años. El diagnóstico más frecuente fue leucemia aguda linfoblástica B (hasta uno de cada cuatro) seguida del neuroblastoma y un numeroso grupo de neoplasias. El exceso de peso fue el factor de riesgo cardiovascular más frecuente observado en nuestra, duplicando el valor basal previo al tratamiento, y mostrando con cifras por encima del valor de la población de referencia actual. La ganancia de peso fue significativamente superior en los pacientes que recibieron quimioterapia y en los que residían en núcleo urbano. A pesar de que la resistencia a la insulina fue el segundo factor de riesgo más frecuente, no se observaron diferencias significativas en la distribución de peso de los pacientes. Nuestra muestra presentó un perfil aterogénico y una elevación de los percentiles de tensión arterial sistólica sin evidenciarse diferencias significativas para edad, sexo, talla y/o tratamiento. Uno de cada cuatro pacientes presentó dos factores de riesgo cardiovascular y hasta un 7% síndrome metabólico. También se han observado diferencias significativas en la masa magra y la masa muscular entre ambos sexos y una buena correlación entre antropometría simple y bioimpedancia, especialmente en el sexo femenino.

4 Conclusiones/ Conclusões

La prevalencia de factores de riesgo cardiovascular se halla aumentada en nuestra muestra, siendo el exceso de peso el más frecuente. Nuestro estudio pone de manifiesto que el tratamiento influye en la ganancia de peso y que la bioimpedanciometría puede ser útil en la evaluación de estos pacientes. Los hallazgos encontrados subrayan la importancia de un cribado e intervención precoz en esta población.



SEHOP
SOCIEDAD ESPAÑOLA
DE HEMATOLOGÍA Y ONCOLOGÍA
PEDIÁTRICAS

1^{ER} CONGRESO IBÉRICO DE HEMATOLOGÍA Y ONCOLOGÍA PEDIÁTRICAS

virtual

21 Y 23 SEPT 2021
28 Y 30 SEPT

C0216 TERAPIAS DIRIGIDAS COMO ESTRATEGIA DE MANTENIMIENTO TRAS TRASPLANTE DE PROGENITORES HEMATOPOYÉTICOS EN PACIENTES CON LEUCEMIA AGUDA DE ALTO RIESGO

Bárbara M. Ochoa Fernández, Yasmina Mozo (Servicio de Hemato-Oncología Pediátrica, Hospital Infantil Universitario La Paz), David Bueno (Servicio de Hemato-Oncología Pediátrica, Hospital Infantil Universitario La Paz), Víctor Galán-Gómez (Servicio de Hemato-Oncología Pediátrica, Hospital Infantil Universitario La Paz), Pilar Guerra-García (Servicio de Hemato-Oncología Pediátrica, Hospital Infantil Universitario La Paz), Adela Escudero-López (Instituto de Genética Médica y Molecular (INGEMM), Hospital Universitario La Paz), Luisa Sisinni (Servicio de Hemato-Oncología Pediátrica, Hospital Infantil Universitario La Paz), Antonio Pérez-Martínez (Servicio de Hemato-Oncología Pediátrica, Hospital Infantil Universitario La Paz)

1 Objetivos/ Metas

Las leucemias refractarias y en recaída suponen un reto terapéutico, especialmente en aquellos pacientes de alto riesgo candidatos a trasplante de progenitores hematopoyéticos (TPH). En la actualidad, la medicina de precisión permite ofrecer alternativas terapéuticas a los pacientes en los que las terapias convencionales han demostrado no ser suficientes para el control de la enfermedad. En este trabajo se pretende analizar una cohorte de pacientes con diagnóstico de leucemia que recibieron terapia dirigida pre y/o post-TPH.

2 Material y Métodos/ Material e métodos

Se incluyeron 5 pacientes con diagnóstico de leucemia aguda en los que se encontraron dianas terapéuticas tras caracterización molecular avanzada mediante secuenciación masiva, empleando un panel de diseño propio, mut4C, multiplex ligation dependent probe amplification (MLPA) y PCR en tiempo real (qPCR).

3 Resultados

La relación varón: mujer fue de 4:1, con una mediana de edad de 8 años y 11 meses (rango: 13). Se incluyeron 4 pacientes (80%) con leucemia linfoblástica (LLA) B y 1 (20%) con leucemia mieloblástica (LMA).

Tres pacientes (60%) presentaron sobreexpresión del gen CRLF2. Un paciente (20%) presentó una mutación clasificada como patogénica en el gen CDKN2A. Otro paciente (20%) presentó una mutación clasificada como oncogénica del dominio TKD del gen FLT3.

Los fármacos administrados fueron: Ruxolitinib, en los pacientes con sobreexpresión de CRLF2; Ribociclib, en mutación de CDKN2A; Sunitinib, en LMA con mutación FLT3-TKD

La terapia dirigida fue iniciada en distintos momentos de la enfermedad: 2 pacientes con mala respuesta a tratamiento de primera línea iniciaron tratamiento dirigido previo a la realización del TPH y 3 pacientes tras la realización del mismo.

Todos los pacientes presentaron buena respuesta tras la administración de la terapia dirigida. Evolutivamente, solo 1 paciente falleció después de alcanzar remisión completa por mortalidad relacionada con el trasplante. 3 pacientes se mantienen en remisión completa con tratamiento dirigido, uno de ellos sufrió recaída de la enfermedad tras 2 meses de la suspensión programada de la terapia dirigida, se rescató con un segundo TPH y se reinició la terapia dirigida manteniendo actualmente remisión completa. En el paciente restante se suspendió el tratamiento tras 12 meses y se mantiene en remisión completa después de 17 meses sin tratamiento.

4 Conclusiones/ Conclusões

La terapia dirigida post-TPH en nuestra serie ha resultado eficaz para prevenir la recaída con baja incidencia de efectos adversos. La ausencia de protocolos consensuados en cuanto a dosificación, toxicidad, seguimiento y duración de los tratamientos dirigidos pone de manifiesto la importancia del desarrollo de ensayos clínicos en pacientes pediátricos.



SEHOP
SOCIEDAD ESPAÑOLA
DE HEMATOLOGÍA Y ONCOLOGÍA
PEDIÁTRICAS

1^{ER} CONGRESO IBÉRICO DE HEMATOLOGÍA Y ONCOLOGÍA PEDIÁTRICAS

virtual

21 Y 23 SEPT 2021
28 Y 30 SEPT

C0220 APLICACIÓN DE LAS GUÍAS DE SEGUIMIENTO A LARGO PLAZO EN UNA UNIDAD DE ONCOHEMATOLOGÍA INFANTIL

M^a Teresa Tormo Alcañiz, Julia Balaguer Guill (Oncología Infantil, Hospital La Fe, Valencia, España), Pablo Gargallo Tatay (Oncología Infantil, Instituto de Investigación Sanitaria La Fe, Valencia, España. Departamento de Oncología, imegen - health in code group, Paterna, Valencia), Jose M^a Fernández Navarro (Oncología Infantil, Hospital La Fe, Valencia, España), Carolina Fuentes Socorro (Oncología Infantil, Hospital La Fe, Valencia, España), M^a del Mar Andrés Moreno, (Oncología Infantil, Hospital La Fe, Valencia, España), Antonio Juan Ribelles (Oncología Infantil, Hospital La Fe, Valencia, España), Adela Cañete Nieto (Oncología Infantil, Hospital La Fe, Valencia, España)

1 Objetivos/ Metas

Analizar el seguimiento a largo plazo de los pacientes diagnosticados de cáncer infantil realizado en las consultas de Oncohematología Infantil de nuestra unidad y describir las alteraciones encontradas durante el mismo.

2 Material y Métodos/ Material e métodos

Revisión de la historia clínica de los pacientes > 14 años y que se encuentran más de 5 años fuera de tratamiento de su cáncer, tratados en nuestra unidad, que aceptaron participar en el estudio de junio 2019 – marzo 2020.

3 Resultados

Accedieron a participar 130 pacientes con una edad media de 20 años y con un predominio de varones (70) respecto a mujeres (60).

Los diagnósticos fueron: 48 Leucemias, 18 linfomas, 17 sarcomas, 9 tumores cerebrales, 7 retinoblastomas, 4 neuroblastomas, 4 tumores renales y 4 de otros tumores diferentes.

El tratamiento recibido para los mismos fue quimioterapia en 126 de los casos, trasplante de progenitores hematopoyéticos en 32, radioterapia en 51 y cirugía en 54.

Se revisó la historia y se comparó el seguimiento que se realizaba habitualmente con las guías de seguimiento a Largo Plazo del Children's Oncology Group (COG) obteniendo los resultados que aparecen en la Tabla 1.

Tabla 1:

	Precisarían seguimiento según las guías COG	Resultados normales	Resultados alterados	No realizado o no disponible el resultado
Audiometría	31	10	8	13
Cardiología	109	68	8	33
Oftalmología	98	11	23	64
Pruebas respiratorias	52	17	10	25
Densidad mineral ósea	43	6	5	28
Endocrino	48	7	33	8

Dentro de la patología oftálmica el resultado fue 8 cataratas, 4 síndrome de ojo seco y el resto, otras patologías. No se tuvo en cuenta ni los defectos de refracción ni los estrabismos.

Las patologías endocrinas se distribuyeron de la siguiente manera:

- Alteraciones gonadales= 18
- Alteraciones tiroideas =14
- Déficit de GH= 10
- Alteraciones de la pubertad=7
- Diabetes insípida =2
- Alteraciones metabolismo lipídico = 4
- Alteraciones del metabolismo de la glucosa =4



SEHOP
SOCIEDAD ESPAÑOLA
DE HEMATOLOGÍA Y ONCOLOGÍA
PEDIÁTRICAS

1^{ER} CONGRESO IBÉRICO DE HEMATOLOGIA Y E ONCOLOGIA PEDIATRICAS

virtual

21 Y 23 SEPT
28 Y 30 SEPT
2021

- Sobrepeso/obesidad = 7

4 Conclusiones/ Conclusões

Los supervivientes de cáncer infantil requieren un seguimiento a largo plazo según guías estandarizadas incorporadas a la práctica clínica actual y realizado por un equipo multidisciplinar de expertos. Se debe seguir trabajando en este aspecto para mejorar la implementación de este seguimiento individualizado.



SEHOP
SOCIEDAD ESPAÑOLA
DE HEMATOLOGÍA Y ONCOLOGÍA
PEDIÁTRICAS

1^{ER} CONGRESO IBÉRICO DE HEMATOLOGIA Y ONCOLOGIA PEDIATRICAS

virtual

21 Y 23 SEPT 2021
28 Y 30 SEPT

C0221 EVOLUCIÓN DEL CÁNCER INFANTIL EN LA PROVINCIA DE GUADALAJARA EN LOS ÚLTIMOS 10 AÑOS

Cristina Eugenia Gilarte Herrera, Julia Redondo Ballesteros (Universidad de Alcalá de Henares, Madrid, España), Fátima Hernández Tienza (Servicio Pediatría, Hospital Universitario de Guadalajara Guadalajara, España), Filip Camil Olteanu Olteanu (Servicio Pediatría, Hospital Universitario de Guadalajara Guadalajara, España), Ana Moreno Molinero (Servicio Pediatría, Hospital Universitario de Guadalajara Guadalajara, España), Ana de la Torre Sanz (Servicio Pediatría, Hospital Universitario de Guadalajara Guadalajara, España), Esther Mazarío Martín (Servicio Pediatría, Hospital Universitario de Guadalajara Guadalajara, España), Gonzalo Galicia Poblet (Servicio Pediatría, Hospital Universitario de Guadalajara Guadalajara, España)

1 Objetivos/ Metas

Analizar la incidencia, las características epidemiológicas, las principales formas de debut y el tiempo de demora diagnóstica de la patología oncológica pediátrica en la provincia de Guadalajara entre los años 2011 y 2020. Además, intentar identificar posibles cambios en la tendencia de estas variables a lo largo de dicho periodo.

2 Material y Métodos/ Material e métodos

Estudio descriptivo, transversal, observacional, retrospectivo consistente en la recogida de datos de todos los pacientes menores de 15 años diagnosticados de cáncer infantil en la provincia de Guadalajara entre el 1 de enero de 2011 y el 31 de diciembre de 2020. En total se incluyeron 38 pacientes.

3 Resultados

La tasa de incidencia estandarizada fue de 8,62 nuevos casos por cada 100.000 niños/as al año. En los dos últimos años, se ha observado un incremento de la incidencia respecto a lo esperado ($p=0,02$) a expensas, principalmente, de tumores del sistema nervioso central ($p=0,04$). La mayoría de los casos nuevos se sitúan entre los 0 y los 4 años de edad. La ratio mujer: hombre se estableció en 1,1:1. Además, se comprobó que existen más casos de cáncer infantil en las zonas rurales que en los núcleos urbanos de la provincia ($p=0,0042$). Se registraron dos fallecimientos (5,3% del total). Los grupos de tumores más frecuentes fueron los del sistema nervioso central (26,3%), las leucemias (23,6%) y los sarcomas de tejidos blandos (13,1%). La mediana de demora en el diagnóstico tumoral se situó en 12 días (RIQ 1,00 - 29,25) y la sospecha clínica se realizó en un 37% de los casos en las consultas de Atención Primaria.

4 Conclusiones/ Conclusões

La tasa de incidencia media de tumores pediátricos en la provincia de Guadalajara se sitúa por debajo de los registros españoles y europeos. Sin embargo, en los dos últimos años se ha objetivado un incremento en el número de casos nuevos por encima de los esperado y superior a la media nacional. Este aumento se produce principalmente a expensas de los tumores del sistema nervioso central. Además, se ha observado que existe mayor tasa de incidencia en las zonas semiurbanas y rurales respecto a las regiones urbanas. Para conocer más sobre este fenómeno y analizar la existencia de factores de riesgo en las zonas rurales de la provincia de Guadalajara que den explicación a la mayor concentración de casos en estas localizaciones se precisan nuevos estudios.



SEHOP
SOCIEDAD ESPAÑOLA
DE HEMATOLOGÍA Y ONCOLOGÍA
PEDIÁTRICAS

1^{ER} CONGRESO IBÉRICO DE HEMATOLOGÍA Y ONCOLOGÍA PEDIÁTRICAS

virtual

21 Y 23 SEPT 2021
28 Y 30 SEPT

C0222 CAMBIOS EN LA INFORMACIÓN SOBRE FERTILIDAD TRAS LA IMPLEMENTACIÓN DE UNA UNIDAD DE ONCOLOGÍA DEL ADOLESCENTE

Susana Buendía López (Oncología Pediátrica, Hospital Infantil Universitario Niño Jesús, Madrid.), Maitane Andión Catalán (Oncología Pediátrica. Hospital Infantil Universitario Niño Jesús (Madrid)), Natalia Camarena Pavón (Oncología Pediátrica. Hospital Infantil Universitario Niño Jesús (Madrid)), **Elena Valero Herranz**, Blanca Herrero Velasco (Oncología Pediátrica. Hospital Infantil Universitario Niño Jesús. (Madrid)), Carlos González Pérez (Pediatria. Hospital Universitario de Móstoles (Madrid)), Rocío Vila de Frutos (Oncología Pediátrica. Hospital Infantil Universitario Niño Jesús (Madrid))

1 Objetivos/ Metas

El aumento de supervivencia global de los pacientes pediátricos con cáncer implica mayor conocimiento de las secuelas a largo plazo, como el riesgo de infertilidad. Un elemento crítico en la calidad del cuidado de adolescentes y jóvenes es la información sobre reproducción y sexualidad, siendo un objetivo de promoción de la salud de todo profesional sanitario durante todas las fases del tratamiento.

Se pretende evaluar la percepción de información recibida sobre estos aspectos en adolescentes tratados en una Unidad de Oncología del Adolescente (UOA), comparándolo con un grupo control tratado antes de la instauración de esta Unidad.

2 Material y Métodos/ Material e métodos

Se realiza encuesta de 24 preguntas a pacientes mayores de 12 años tratados desde la apertura de la UOA en junio 2018 (grupo A) y pacientes que se trataron previamente (grupo B).

3 Resultados

La edad media durante la encuesta fue de 15.32 ± 2.17 (A) y 19.53 ± 3.36 (B) años y al diagnóstico de 14.68 ± 2.26 (A) y 13.73 ± 2.80 (B) años. El 45.5% (A) y 73.3% (B) eran mujeres. Por patología, leucemias y linfomas sumaban más del 50% en ambos grupos.

En más del 80% en ambos grupos se informó sobre efectos secundarios del tratamiento en la fertilidad, siendo más frecuente en el grupo A. En el grupo A había más pacientes que consideraban "amplia" la información recibida (54.5% vs 40%), la obtuvieron con más frecuencia al diagnóstico (63.6% vs 26.7%) y fueron informados sobre opciones de preservación de la fertilidad (81.8% vs 60%). En ambos grupos se indicaron otras opciones para construir una familia en proporciones similares (36.4% vs 33.3%). En el grupo A había más pacientes satisfechos con la información (72.7% vs 60%). Un porcentaje pequeño fue derivado a especialistas en fertilidad (más frecuente en el B). Se ha realizado preservación de fertilidad en un porcentaje mayor desde la apertura de la UOA.

Menos de la mitad de cada grupo recibió educación afectivo-sexual y sólo cuatro del total a través de profesionales sanitarios. En el grupo A había más pacientes que conocían los efectos secundarios del tratamiento sobre su sexualidad. La mayoría de entrevistados consideraba que la fertilidad impacta en su calidad de vida.

4 Conclusiones/ Conclusões

Se observan cambios en la manera de informar a nuestros pacientes desde el inicio de la UOA. Se objetiva mejoría en la información proporcionada. Todavía existe necesidad de progreso en este asesoramiento. Se pone de manifiesto la relevancia de avanzar en el contenido y los medios de la información proporcionada.



SEHOP
SOCIEDAD ESPAÑOLA
DE HEMATOLOGÍA Y ONCOLOGÍA
PEDIÁTRICAS

1^{ER} CONGRESO IBÉRICO DE HEMATOLOGÍA Y ONCOLOGÍA PEDIÁTRICAS

virtual

21 Y 23 SEPT 2021
28 Y 30 SEPT

C0223 ANEMIA HEMOLÍTICA AUTOINMUNE: EXPERIENCIA EN UN CENTRO PEDIÁTRICO

Aina Seguí Solís, Anna Ruiz Llobet (Servicio de hematología pediátrica. Hospital Sant Joan de Déu, Barcelona. España), Montserrat Mesegué Medà (Servicio de hematología pediátrica. Hospital Sant Joan de Déu, Barcelona. España), María Solsona Gadea (Servicio de hematología pediátrica. Hospital Sant Joan de Déu, Barcelona. España), Elisa González Forster (Servicio de hematología pediátrica. Hospital Sant Joan de Déu, Barcelona. España), Rubén Berruero Moreno (Servicio de hematología pediátrica. Hospital Sant Joan de Déu, Barcelona. España)

1 Objetivos/ Metas

Objetivo:

La anemia hemolítica autoinmune es una entidad poco frecuente en la edad pediátrica y con una evolución favorable en la mayoría de los casos. El objetivo de esta serie es describir las características al diagnóstico, el tratamiento y la evolución de los pacientes tratados en un centro pediátrico de tercer nivel durante un periodo de 22 años.

2 Material y Métodos/ Material e métodos

Material y métodos:

Estudio retrospectivo de pacientes entre los 0 y los 18 años diagnosticados de anemia hemolítica autoinmune en nuestro centro desde 1998 a 2020. Los criterios de inclusión fueron: anemia con estudios inmunohematológicos positivos y datos de hemólisis. Se excluyeron pacientes con otras anemias hemolíticas hereditarias y postrasplantados.

Se recogieron datos demográficos, presentación clínica, estudios realizados, tratamiento y evolución.

3 Resultados

Resultados:

Se incluyeron un total de 36 pacientes. La mediana de edad al diagnóstico era de 5.4 años [rango de 2 meses a 17 años], 66.6% varones. Un 75% presentaron test directo de antiglobulina positivo para IgG o IgG + C3d. En un 20% de los casos se describía un cuadro infeccioso previo. La cifra mediana de hemoglobina al diagnóstico fue de 5,8 g/dL. Los corticosteroides fueron la primera línea de tratamiento en un 89% de pacientes, con una respuesta global del 82.7% (68.5% completa, 14.2% parcial). En 8 pacientes se documentó recaída. Un 35% de los casos requirieron otros tratamientos: inmunoglobulina intravenosa, rituximab, micofenolato mofetil o esplenectomía. La mediana de seguimiento fue de 6 años [rango 4 meses a 14 años]. Durante el seguimiento, 5 pacientes (13.9%) cumplían criterios de síndrome de Evans y 2 de ellos se diagnosticaron posteriormente de inmunodeficiencia variable común. Además, en un 8.3% de los casos, la anemia hemolítica autoinmune fue la primera manifestación de otro trastorno inmunológico (deficiencia CLTA4, mutación CASP10 o inmunodeficiencia variable común).

4 Conclusiones/ Conclusões

Conclusiones:

La anemia hemolítica autoinmune en la edad pediátrica es una entidad poco frecuente, que suele responder favorablemente al tratamiento con corticoides. En nuestra experiencia, debe valorarse realizar un estudio para descartar inmunodeficiencias u otras entidades graves subyacentes, especialmente aquellos pacientes con síndrome de Evans y/o evolución desfavorable.



SEHOP
SOCIEDAD ESPAÑOLA
DE HEMATOLOGÍA Y ONCOLOGÍA
PEDIÁTRICAS

1^{ER} CONGRESO IBÉRICO DE HEMATOLOGÍA Y ONCOLOGÍA PEDIÁTRICAS

virtual

21 Y 23 SEPT 2021
28 Y 30 SEPT

C0224 TROMBOEMBOLISMO VENOSO DURANTE EL TRATAMIENTO DE LA LEUCEMIA LINFOBLÁSTICA AGUDA PEDIÁTRICA SEGÚN EL PROTOCOLO LAL-SEHOP-PETHEMA-2013: UTILIDAD DE LA TROMBOPROFILAXIS

Anna Ruiz Llobet, Susanna Gassiot (Laboratorio de Hematología, Hospital Sant Joan de Déu Barcelona, Universitat de Barcelona, Institut de Recerca Pediàtrica, Hospital San Joan de Déu de Barcelona (IRP-HSJD), Esplugues de Llobregat, Barcelona.), Edurne Sarrate (Laboratorio de Hematología, Hospital Sant Joan de Déu Barcelona Universitat de Barcelona, Institut de Recerca Pediàtrica), Josune Zubizaray (Servicio de Hematología y Hemoterapia, Hematología y Oncología Pediátricas, Hospital Infantil Universitario Niño Jesús, Fundación para la Investigación Biomédica del Hospital Infantil Universitario Niño Jesús, Madrid.), Ángela Menárguez López (Servicio Hematología y Oncología pediátricas. Hospital Universitari Vall d'Hebron, Barcelona.), Melissa Panesso Romero (Servicio Hematología y Oncología pediátricas. Hospital Universitari Vall d'Hebron, Barcelona.), Catalina Montoya (Departamento de Pediatría. Hospital General Universitario de Alicante.), José Manuel Vagace (Servicio de Hematología y Hemoterapia. Complejo Hospitalario Universitario de Badajoz.), José Ramón Molina Hurtado (Servicio Hematología y Hemoterapia del Hospital Universitario Reina Sofía, Córdoba.), Marina García Morín (Sección de Hematología y Oncología Pediátricas, Hospital General Universitario Gregorio Marañón, Madrid; Instituto de Investigación Sanitaria Gregorio Marañón, Madrid.), Miriam García Abós (Servicio de Oncología Pediátrica. Hospital Universitario Donostia.), María Carmen Mendoza Sánchez (Complejo asistencial Universitario de Salamanca.), Francisco Lendínez (Servicio de Pediatría. Complejo Hospitalario de Torrecárdenas, Almería.), Pilar Palomo Moraleda (Servicio de Hematología y Hemoterapia. Hospital Universitario Central de Asturias.), María Tallón (Servicio de Pediatría. Hospital Álvaro Cunqueiro Vigo.), Berta González (Servicio de Hematología y Oncología Pediátricas. Hospital Universitario La Paz, Valencia.), Emilia Urrutia (Servicio de Pediatría y Oncohematología pediátricas. Hospital Materno Infantil Virgen de las Nieves, Granada.), Vicente Serna (Servicio de Pediatría. Hospital de la Santa Creu i Sant Pau, Barcelona.), Irene Peláez Pleguezuelos (Servicio de Oncología Pediátrica. Complejo Hospitalario de Jaén.), Marta Martínez Merino (Unidad de Oncohematología Pediátrica. Complejo Hospitalario de Navarra, Pamplona), José Luis Fuster (Sección de Oncohematología Pediátrica, Hospital Clínico Virgen de la Arrixaca, Murcia, Spain.), Elena Orellana (Servicio de Hematología y Oncología Pediátricas. Hospital 12 de Octubre, Madrid.), Helga Benítez Muñoz (Servicio de Oncología pediátrica. Hospital Universitario Virgen Macarena, Sevilla.), Rubén Berrueto (Servicio de Hematología Pediátrica, Hospital Sant Joan de Déu Barcelona, Universitat de Barcelona, Institut de Recerca Pediàtrica, Hospital San Joan de Déu de Barcelona (IRP-HSJD), Esplugues de Llobregat, Barcelona.)

1 Objetivos/ Metas

Introducción:

El tromboembolismo venoso (TEV) es una complicación relativamente frecuente durante el tratamiento de la leucemia linfooblástica aguda (LLA) en el paciente pediátrico (3-14%).

Su etiología es multifactorial pero, aunque existen factores de riesgo bien conocidos como la edad, el uso de catéteres venosos centrales (CVC) o la administración concomitante de corticoides y asparaginasa, el papel de otros factores como la trombofilia hereditaria todavía es controvertida. Las estrategias preventivas están poco estandarizadas.

2 Material y Métodos/ Material e métodos

Material y métodos:

Estudio retrospectivo, multicéntrico en pacientes de 1-18 años afectados de LLA en tratamiento según la guía vigente (SEHOP-PETHEMA). Se recogieron: datos demográficos, características de la LLA, factores de riesgo asociados al TEV, trombopprofilaxis, eventos hemorrágicos asociados. En los pacientes que presentaron un TEV: datos relacionados con la clínica, el tratamiento y su evolución. Análisis de datos mediante soporte estadístico SPSS.

3 Resultados

Resultados:

Se incluyeron un total de 653 pacientes (55,7% niños), edad media de 5,68 años (DS \pm 11,25) diagnosticados de: LLA-B (n= 550; 19 con translocación 9;22), LLA-T (n= 101), LLA-bifenotípica (n=2). Recibieron tratamiento según grupo de riesgo: estándar (n=61), intermedio (n=431), alto (n=148), desconocido (n=13). Se describieron 58 TEV en 57 pacientes (8.7%) durante las fases de: inducción IA (n=44), IB (n=4), consolidación (n=1), reinducción (n=1), mantenimiento (n=8). Un total de 123 pacientes presentaban algún tipo de trombofilia hereditaria (déficit de antitrombina, proteína S, proteína C, mutación protombina o mutación factor V Leyden).

Los episodios de TEVs consistieron en: trombosis asociada a CVC (n=40; 4 de ellas cardiacas), trombosis seno venoso (n=13), tromboembolismo pulmonar (n=5) y se asociaron con más frecuencia a presencia de



SEHOP
SOCIEDAD ESPAÑOLA
DE HEMATOLOGÍA Y ONCOLOGÍA
PEDIÁTRICAS

1^{ER} CONGRESO IBÉRICO DE HEMATOLOGIA Y E ONCOLOGIA PEDIATRICAS *virtual* 21 Y 23 SEPT 2021 28 Y 30 SEPT

trombofilia hereditaria (13% sin tener en cuenta tromboprofilaxis), diagnóstico de LLA-T (17,8%), translocación 9;22 (15,7%), presencia de masa mediastínica (18%) y edad >10 años (12,4%). Setenta y dos pacientes (2.1%) recibieron tromboprofilaxis con heparina de bajo peso molecular a partir del día 12 de tratamiento durante la fase IA. Se describieron dos sangrados menores, pero ninguno mayor. Entre los pacientes que presentaban algún factor de trombofilia hereditaria, la tromboprofilaxis disminuyó la frecuencia de TEV de manera significativa (de 15% en pacientes sin profilaxis a 8,1%; $p < 0.05$).

4 Conclusiones/ Conclusões

Conclusiones:

La incidencia de TEV de esta serie es similar a lo descrito previamente. Entre los factores de riesgo destacan la presencia de CVC, el tratamiento administrado durante la fase de inducción IA y la trombofilia hereditaria. La tromboprofilaxis fue útil para reducir el número de TEVs en los pacientes con trombofilia hereditaria.



SEHOP
SOCIEDAD ESPAÑOLA
DE HEMATOLOGÍA Y ONCOLOGÍA
PEDIÁTRICAS

1^{ER} CONGRESO IBÉRICO DE HEMATOLOGÍA Y ONCOLOGÍA PEDIÁTRICAS

virtual

21 Y 23 SEPT 2021
28 Y 30 SEPT

C0226 RESPUESTA TERAPÉUTICA Y CAPACIDAD FUNCIONAL DE PACIENTES ONCOLÓGICOS TRATADOS CON QUIMIOTERAPIA METRONÓMICA EN EL HOSPITAL DE PEDIATRÍA DEL CMNO, IMSS.

Dra. Lilian Sabrina Morales Canedo

1 Objetivos/ Metas

Describir las características clínicas de los pacientes que recibieron quimioterapia metronómica. Evaluar la respuesta clínica y conocer el estado funcional.

2 Material y Métodos/ Material e métodos

Estudio descriptivo, que se realizó en la consulta externa de oncología pediátrica de la UMAE Hospital de Pediatría del Centro Médico Nacional de Occidente del IMSS, de la ciudad de Guadalajara, Jalisco, México del 1.02.17 al 31.01.21. Se incluyeron pacientes oncológicos menores de 16 años, que recibieron quimioterapia metronómica, la cual consistió en ciclos de 42 días, con toma oral de celecoxib, ciclofosfamida y metotrexato hasta completar 24 semanas. Se incluyeron pacientes vivos y finados que recibieron tratamiento quimioterapéutico de primera y segunda línea y que se encontraban en recaída de la enfermedad o refractariedad al tratamiento, pacientes vivos con enfermedad terminal, que contaban con al menos una expectativa de vida estimada, mayor de 2 meses y realización de cuestionario de estado funcional de Karnofsky/Lansky. Se evaluó sobrevida global.

3 Resultados

Se incluyeron 25 pacientes, con predominio del género femenino, 56%. La media de edad fue de 8.3 años. Predominaron los tumores del SNC con 11 pacientes, 6 osteosarcomas, 3 neuroblastomas, 2 tumores de células germinales, 1 rhabdomyosarcoma, 1 tumor de Wilms y 1 blastoma pleuropumonar. De acuerdo a los criterios RESIST, 1 paciente presentó respuesta completa de la enfermedad, 4 respuestas parciales, 3 con enfermedad estable y 17 con progresión. La media supervivencia global observada en todos los pacientes fue de 6.7 meses. En cuanto a funcionalidad, el 92% presentó mejoría significativa, según la escala Karnofsky/Lansky.

4 Conclusiones/ Conclusões

El empleo de quimioterapia metronómica es una opción terapéutica viable para los pacientes oncológicos con recaída o refractarios a tratamiento. Un tercio de nuestros pacientes presentaron estabilización o disminución de la actividad tumoral, lo que influyó positivamente en el incremento de su capacidad funcional y supervivencia.

El empleo de la quimioterapia metronómica continúa siendo motivo de investigación en pacientes oncológicos pediátricos en fase terminal. Esta modalidad de tratamiento ha demostrado su efectividad y tolerancia, manteniendo la enfermedad estable y en algunos casos, ocasionando respuestas parciales e incluso completas. En el presente trabajo documentamos efecto del tratamiento sobre el tumor en 8 de 25 pacientes y se reportó un caso de respuesta completa (tumor de Wilms).

Aunque no fue un objetivo del estudio, la escasa toxicidad del tratamiento, los pocos ingresos hospitalarios y la disminución de los requerimientos trasfusionales, hacen suponer que la calidad de vida de los pacientes se benefició con el tratamiento.



SEHOP
SOCIEDAD ESPAÑOLA
DE HEMATOLOGÍA Y ONCOLOGÍA
PEDIÁTRICAS

SOCIEDADE DE HEMATOLOGIA
E ONCOLOGIA PEDIATRICA
DA SOCIEDADE PORTUGUESA DE PEDIATRIA

1^{ER} CONGRESO IBÉRICO DE HEMATOLOGIA Y ONCOLOGIA PEDIATRICAS

virtual

21 Y 23 SEPT 2021
28 Y 30 SEPT

C0228 APLICACIÓN DEL PROGRAMA DE MEDICINA PERSONALIZADA COMIK EN PACIENTES PEDIÁTRICOS Y ADOLESCENTES CON TUMORES ULTRA-RAROS

Raquel Hladun Alvaro, Aroa Soriano Fernández (Grupo de Investigación Traslacional en Cáncer en la Infancia y Adolescencia Instituto de Investigación Vall d'Hebron, Barcelona, España), **Gabriela Guillén Burrieza** (Servicio de Cirugía Pediátrica, Hospital Vall d'Hebron, Barcelona, España), **Marta Garrido Pontnou** (Servicio de Anatomía Patológica, Hospital Vall d'Hebron, Barcelona, España), **Elida Vázquez Méndez** (Servicio de Radiología Pediátrica, Hospital Vall d'Hebron, Barcelona, España), **Lorena Valero Arrese**, (Servicio de Oncología y Hematología Pediátricas, Hospital Vall d'Hebron, Barcelona, España), **Lucas Moreno Martín-Retortillo** (Servicio de Oncología y Hematología Pediátricas, Hospital Vall d'Hebron, Barcelona, España), **Soledad Gallego Melcón** (Servicio de Oncología y Hematología Pediátricas, Hospital Vall d'Hebron, Barcelona, España)

1 Objetivos/ Metas

Las técnicas de secuenciación masiva han permitido identificar dianas moleculares y desarrollar terapias dirigidas que pueden mejorar el pronóstico de pacientes con tumores intratables, dando origen a la medicina personalizada. Sin embargo, el acceso de pacientes pediátricos a nuevas terapias a través de ensayos clínicos continúa siendo limitado. Los pacientes con cánceres menos frecuentes (ultra-raros) a menudo son excluidos de ensayos clínicos y programas de investigación. Revisamos los resultados de las variantes somáticas en pacientes del programa COMIK (*Cancer OMICs for Kids*), y analizamos las oportunidades de acceso a dichas terapias.

2 Material y Métodos/ Material e métodos

Niños y adolescentes con tumores sólidos ultra-raros (excluyendo neuroblastoma, sarcoma Ewing, osteosarcoma, rhabdomyosarcoma, glioma, meduloblastoma) de alto riesgo, en recaída o progresión, a los que se realizó *Whole Exome Sequencing* del ADN tumoral y germinal para la detección de variaciones en el número de copia, variantes puntuales, pequeñas inserciones y deleciones, carga mutacional tumoral y firmas mutacionales.

3 Resultados

Desde diciembre 2015 hasta mayo 2021 se incluyeron 32 pacientes. La mediana de edad fue 9 años (rango 3 meses – 17 años), con los diagnósticos de sarcomas de partes blandas no rhabdomyosarcomas (12/32), tumores hepáticos (5/32) y carcinomas (4/32) entre otros.

Se identificaron alteraciones moleculares somáticas en el 56% (20/32) de los pacientes, identificándose 2 o más alteraciones en 9 de ellos. De las anomalías encontradas (34), el 32% son genes reguladores epigenéticos, el 15% receptores tirosina quinasa, el 12% genes implicados en la regulación de la transcripción y el 12% genes de la vía PTEN/Pi3K/AKT/mTOR, entre otros. Existen fármacos que inhiben de forma directa o indirecta el 67% (23/34) de las alteraciones descritas y para los cuales existe alguna evidencia clínica de eficacia. Esto significa que en el 56% (18/32) de pacientes podemos proponer una terapia basada en los hallazgos moleculares encontrados. En ningún caso, se trata de terapias aprobadas en pediatría, y aunque prácticamente en todos (21/23) el fármaco está desarrollándose en ensayos clínicos pediátricos, solo en el 21% (5/23) hubo un ensayo disponible a nivel nacional.

4 Conclusiones/ Conclusões

La aplicación del programa COMIK ha demostrado ser factible en pacientes con tumores pediátricos ultra-raros, permitiendo identificar anomalías moleculares tratables con terapias dirigidas en más de la mitad de los pacientes. Aun así, en una proporción inaceptablemente alta de casos (79%), dichas terapias no son finalmente administradas por falta de ensayos clínicos disponibles o fármacos autorizados, evidenciando el acceso limitado a nuevos fármacos de este grupo de pacientes.



SEHOP
SOCIEDAD ESPAÑOLA
DE HEMATOLOGÍA Y ONCOLOGÍA
PEDIÁTRICAS

1^{ER} CONGRESO IBÉRICO DE HEMATOLOGIA Y ONCOLOGIA PEDIATRICAS

virtual

21 Y 23 SEPT 2021
28 Y 30 SEPT

C0230 XERODERMA PIGMENTOSUM - A MULTIDISCIPLINARY APPROACH

Antonio Gentil Martins

1 Objetivos/ Metas

To emphasize the value of a multidisciplinary approach

2 Material y Métodos/ Material e métodos

Presentiion of 4 Patients , mainly showing the value of dermabrasion and of surgery, (from the simplest to the most agressive forms), and the need for a timely intervention (when the essential Prevention, through avoiding ultraviloet irradiation, as falied)

3 Resultados

Satisfactory results where obtained, with prolonged survival, although requiring frequent and carefull follow-up.

4 Conclusiones/ Conclusões

The value of prevention and of a multipdisciplinaty approach from professionals truthfully dedicated and experienced in Pediatric Oncology (either medical, surgical or psycological)



SEHOP
SOCIEDAD ESPAÑOLA
DE HEMATOLOGÍA Y ONCOLOGÍA
PEDIÁTRICAS

1^{ER} CONGRESO IBÉRICO DE HEMATOLOGÍA Y ONCOLOGÍA PEDIÁTRICAS

virtual

21 Y 23 SEPT 2021
28 Y 30 SEPT

C0231 USO DE AGONISTAS DEL RECEPTOR DE LA TROMBOPOYETINA EN TROMBOPENIA INMUNE PRIMARIA PEDIÁTRICA: EXPERIENCIA EN UN CENTRO.

Jesús González de Pablo (Hematología, Fundación para la Investigación Biomédica Hospital Niño Jesús, Madrid, España), Josune Zubizaray Salegui (Hematología, Hospital Infantil Universitario Niño Jesús, Madrid, España), June Iriando Alzola (Hematología, Hospital Infantil Universitario Niño Jesús, Madrid, España), Eva María Andrés (Estadística, Fundación para la Investigación Biomédica Hospital Niño Jesús, Madrid, España), Luis Madero López (Hematología y Oncología, Hospital Infantil Universitario Niño Jesús, Madrid España.), Julián Sevilla Navarro (Hematología, Hospital Infantil Universitario Niño Jesús, Madrid, España), **Elena Sebastián Pérez**

1 Objetivos/ Metas

La trombocitopenia inmune primaria (PTI) pediátrica evoluciona a la cronicidad en el 20% de los casos. Los agonistas del receptor de la trombopoyetina (ar-TPO) se han consolidado como tratamiento de segunda línea para pacientes pediátricos con PTI crónica refractaria. El objetivo de este estudio es evaluar de forma retrospectiva la tasa de respuesta de los pacientes tratados con ar-TPO (Eltrombopag o Romiplostim) en nuestro centro y a su vez buscar factores pronósticos que puedan predecir la respuesta a dichos tratamientos.

2 Material y Métodos/ Material e métodos

Se han revisado retrospectivamente las historias clínicas de 28 pacientes con PTI tratados en nuestro centro con alguno de los ar-TPO, desde 2010 hasta 2021. 6 de nuevo diagnóstico, 3 persistentes, 19 crónicas. Se ha considerado respuesta al tratamiento con ar-TPO según la definición de Rodherigho et al. El paquete estadístico utilizado para el análisis fue SPSS Statistics 22.0 (IBM Corp, Chicago, IL, USA).

3 Resultados

La tasa de respuesta completa general es del 64,3% (18/28). La respuesta completa a Eltrombopag ha sido del 68,8% (11/16) y a Romiplostim del 58,3% (7/12). Respecto a la elección del ar-TPO, cuanto menor edad tenga el paciente más probable es elegir Romiplostim como primer agonista ($p=0,04$). Se han reportado pocos efectos adversos, destacando un caso de náuseas con Eltrombopag y otro caso de caída de cabello con Romiplostim. No se han encontrado factores pronósticos relacionados con la respuesta a Eltrombopag o Romiplostim. En 7 pacientes se hizo *switch* de ar-TPO: en 6 pacientes sin respuesta al primer agonista, se decidió cambiar al segundo (3 cambios Eltrombopag-Romiplostim y 3 Romiplostim-Eltrombopag), de ellos el 50% ha conseguido responder al segundo agonista. Un paciente tuvo que cambiar de ar-TPO por problemas de ingesta con Eltrombopag. En 6 pacientes se ha podido suspender el ar-TPO por haber alcanzado respuesta completa.

4 Conclusiones/ Conclusões

Los ar-TPO demuestran ser un tratamiento efectivo y seguro en el rescate de más del 60% de los pacientes pediátricos con PTI refractaria o crónica. La edad ha mostrado ser el principal factor a tener en cuenta en la elección del ar-TPO, coincidiendo con trabajos previos y en posible relación con problemas de ingesta asociados a Eltrombopag. No se han encontrado factores pronósticos asociados a la respuesta, probablemente debido al número de pacientes analizados. Se necesita una cohorte mayor de pacientes para buscar posibles factores asociados con la respuesta a ar-TPO.



SEHOP
SOCIEDAD ESPAÑOLA
DE HEMATOLOGÍA Y ONCOLOGÍA
PEDIÁTRICAS

1^{ER} CONGRESO IBÉRICO DE HEMATOLOGIA Y ONCOLOGIA PEDIATRICAS

virtual

21 Y 23 SEPT 2021
28 Y 30 SEPT

C0235 IMPACTO CLÍNICO Y EMOCIONAL DE LA COVID-19 EN ADOLESCENTES CON CÁNCER

Natalia Camarena Pavón, Maitane Andión Catalán (Oncolohematología pediátrica. Hospital Universitario Niño Jesús: Madrid. España), Elena Valero Herranz (Oncolohematología pediátrica. Hospital Universitario Niño Jesús: Madrid. España), Susana Buendía López (Oncolohematología pediátrica. Hospital Universitario Niño Jesús: Madrid. España)

1 Objetivos/ Metas

Tras pandemia mundial por la propagación de SARS Cov-2 han surgido preocupaciones sobre como la COVID-19 ha impactado clínica y emocionalmente en los pacientes con cáncer.

2 Material y Métodos/ Material e métodos

Se realiza un análisis descriptivo en el que se evalúa la influencia de la COVID-19 a través de encuestas anónimas retrospectivas en pacientes tratados en la unidad de Oncología de Adolescentes (UOA) del Hospital Niño Jesús que tuvieron infección por SARS-Cov-2.

3 Resultados

15 pacientes que padecieron la infección, 10% del total de pacientes en seguimiento en la unidad. 11 (73%) varones y 4 (27%) mujeres. 10 estaban diagnosticados de neoplasias hematológicas y 5 de tumores sólidos. La mediana de edad fue 18 años (14-25). 3 pacientes estaban en tratamiento activo en el momento de la infección, en ellos el tratamiento oncológico se vio retrasado a causa de la misma, 12 habían terminado el tratamiento. 11 pacientes tuvieron síntomas relacionados con la infección; los más frecuentes fueron tos y anosmia. El test de detección de COVID se realizó por contacto con infectados en 5 pacientes, por protocolo del hospital en 2 y por sintomatología compatible en 1. El diagnóstico se hizo con PCR en 9 pacientes, test rápido antigénico en 5 y serología en 1. 2 pacientes requirieron prolongar la hospitalización por la infección y 1 de ellos falleció por progresión de su enfermedad oncológica, aunque estuvo asintomático desde el punto de vista respiratorio, el tratamiento antineoplásico se retrasó. Solo 1 paciente precisó cuidados intensivos. La mayoría permanecieron aislados de 10 a 20 días (8). Las emociones predominantes durante la infección fueron miedo a una infección grave y aburrimiento. La mayoría de pacientes (9) dice encontrarse totalmente recuperado. Anosmia, astenia y punzadas torácicas son los síntomas residuales más frecuentes. Respecto a la información que se les ofreció, para 8 pacientes fue aceptable, para 5 muy adecuada y 1 cree que fue insuficiente. 1 paciente, refiere que se sintió distanciado del equipo médico por las medidas de seguridad y equipos de protección del personal sanitaria.

4 Conclusiones/ Conclusões

Varios estudios demuestran que, aunque los niños y adolescentes con cáncer deben ser manejados como personas de alto riesgo, la evolución clínica y el pronóstico son mejores que la población adulta. Sin embargo, no está claro si la infección supone un retraso significativo en su tratamiento antineoplásico y que impacto tiene a nivel psicológico la COVID-19 en estos pacientes.



SEHOP
SOCIEDAD ESPAÑOLA
DE HEMATOLOGÍA Y ONCOLOGÍA
PEDIÁTRICAS

1^{ER} CONGRESO IBÉRICO DE HEMATOLOGÍA Y ONCOLOGÍA PEDIÁTRICAS

virtual

21 Y 23 SEPT 2021
28 Y 30 SEPT

C0237 NEUROBLASTOMA REFRACTARIO Y EN RECAÍDA: 10 AÑOS DE EXPERIENCIA EN UNA UNIDAD DE ONCOLOGÍA PEDIÁTRICA.

Inmaculada Delicado Calderón, Marta Cortés Hernández (Hospital Materno Infantil Málaga, Málaga, España), Laura García Hidalgo (Hospital Materno Infantil Málaga, Málaga, España), Guiomar Gutiérrez Schiaffino (Hospital Materno Infantil Málaga, Málaga, España), Miguel Ángel Lendínez Ramírez (Hospital Materno Infantil Málaga, Málaga, España), Silvia Torrejón Almeida (Hospital Materno Infantil Málaga, Málaga, España)

1 Objetivos/ Metas

El neuroblastoma (NB), tumor sólido extracraneal más frecuente en población pediátrica, presenta todavía un pronóstico desfavorable; especialmente en pacientes con enfermedad de alto riesgo, con recaída o refractarios a terapias de primera línea.

El objetivo primario fue determinar la proporción de casos refractarios y recaídas del total de neuroblastomas diagnosticados durante la duración del estudio. Se consideró refractarios aquellos casos sin respuesta completa o muy buena respuesta parcial tras tratamiento de inducción.

El objetivo secundario fue describir características de la población citada y estudiar si existen diferencias en términos de supervivencia global (OS) entre los pacientes refractarios y las recaídas.

2 Material y Métodos/ Material e métodos

Estudio descriptivo retrospectivo de pacientes con diagnóstico de neuroblastoma entre Enero de 2011 y Enero de 2021 en una Unidad de Oncología Pediátrica de referencia (excluyéndose masas suprarrenales congénitas, neuroblastomas 4S y ganglioneuromas).

3 Resultados

Del total de 35 neuroblastomas diagnosticados durante el periodo del estudio, 14 (40%) fueron refractarios (7) o recaídas (7).

La media de edad al diagnóstico de los NB refractario/recaída fue 4,5 años (rango 7 meses-17 años) y un 57% (8) eran mujeres. La mayoría (13, 93%) fueron de alto riesgo al diagnóstico. De estos, 9 (64%) tenían amplificación de *n-myc*.

En cuanto a las terapias de segunda línea, 8 pacientes (57%) recibieron esquemas de quimioterapia de recaída: 3 recibieron ciclos TOTEM (Topotecan-Temozolamida), 4 ciclos TEMIRI (Temozolamida-Irinotecan) y 1 ciclo TVD (Topotecan-Vincristina-Doxorrubicina).

De estos, 3 pacientes recibieron más de 1 línea de tratamiento de recaída.

Un paciente recibió tratamiento dentro de un ensayo clínico (Nab-Paclitaxel).

Los 5 restantes presentaron rápida progresión de enfermedad y sólo recibieron cuidados final de vida.

La mediana de supervivencia global de los pacientes con NB refractario fue 13,2 meses (IC 95%: 5,7-20-6) y 31 meses (IC95%: 9,3-54) en recaídas, sin observarse diferencias estadísticamente significativas entre ambos ($p=0,051$).

4 Conclusiones/ Conclusões

El porcentaje de neuroblastomas refractarios o que recaen tras primera línea (especialmente casos de alto riesgo) es todavía alto, pese al manejo multimodal de la enfermedad.

En nuestra serie, la mitad de los casos fueron refractarios. La definición reciente del subgrupo "ultra-alto-riesgo", permitirá estratificar a aquellos pacientes dentro del neuroblastoma del alto riesgo que presentan aún peor pronóstico, en el que probablemente se engloben gran parte de los NB considerados hasta ahora refractarios.

La participación en ensayos clínicos Fase I/II es todavía mejorable; puesto que la inclusión de estos pacientes es crucial para favorecer el desarrollo de nuevas terapias.



SEHOP
SOCIEDAD ESPAÑOLA
DE HEMATOLOGÍA Y ONCOLOGÍA
PEDIÁTRICAS

SOCIEDADE DE HEMATOLOGIA
E ONCOLOGIA PEDIATRICA
DA SOCIEDADE PORTUGUESA DE PEDIATRIA

1^{ER} CONGRESO IBÉRICO DE HEMATOLOGIA Y ONCOLOGIA PEDIATRICAS

virtual

21 Y 23 SEPT 2021
28 Y 30 SEPT

C0239 Y DESPUÉS DE LOS AÑOS...

María Mora Matilla, María Luisa Moreno Tejero (Unidad de Oncología Pediátrica. HMI de Badajoz.), Susana Arenas Moreno (Servicio de Radiología. HMI de Badajoz.), Luis Montsech Angulo (Servicio de Radiología. HMI de Badajoz)

1 Objetivos/ Metas

INTRODUCCIÓN

La hiperplasia nodular focal (HNF) es una neoplasia hepática benigna rara. El mecanismo patogénico es desconocido pero se produce por un crecimiento anómalo de los hepatocitos. Se ha asociado en algunos casos al tratamiento con quimioterapia (QT) y anticonceptivos orales (ACO) entre otros. Suele cursar de forma asintomática aunque en ocasiones puede aparecer dolor abdominal y hepatomegalia asociado. La imagen radiológica no es patognomónica pero si se presenta como una lesión lobulada con una cicatriz fibrosa central típica en la Resonancia Magnética (RMN). En muchas ocasiones es necesaria la biopsia para establecer un diagnóstico definitivo.

OBJETIVO

Describir 4 casos de HNF hepática diagnosticados en consulta en la Unidad de Oncología Pediátrica. Presentan como antecedente un tumor sólido que precisó tratamiento con QT, radioterapia (RT) y/o Transplante de Progenitores Hematopoyéticos (TPH).

2 Material y Métodos/ Material e métodos

CASO 1. Paciente de 13 años con diagnóstico de Neuroblastoma a los 3 años que recibió tratamiento QT; 2 años después se diagnostica de Leucemia Aguda Linfocítica (LAL) precisando alo-TPH. En control ecográfico a los 9 años se observa lesión hepática confirmándose en RMN.

CASO 2. Tumor de la familia Ewing de localización renal tratado con QT y RT abdominal. En seguimiento en 3º año se observan lesiones hepáticas múltiples confirmándose en RMN con contraste hepatoespecífico.

CASO 3. Paciente de 9 años con diagnóstico de Neuroblastoma al nacimiento que precisó tratamiento QT. En control ecográfico a los 4 años se observan lesiones hepáticas múltiples, confirmándose en biopsia.

CASO 4. Paciente de 16 años con osteosarcoma metastásico que recibió tratamiento QT y TPH. Tratamiento con ACO. En laparoscopia por colecistitis a los 10 años se observan múltiples lesiones hepáticas compatibles con HNF.

3 Resultados

En nuestra serie presentamos 4 casos. 3 son mujeres. Los 4 pacientes estaban asintomáticos al diagnóstico siendo un diagnóstico incidental en pruebas de imagen. La función hepática no presentaba alteraciones y los marcadores eran negativos. Todos ellos habían recibido tratamiento QT. Se confirmó la lesión por ecografía y RMN con contraste hepatoespecífico, un paciente precisó biopsia por dudas diagnósticas. Todos los pacientes presentan lesiones estables en número y tamaño en controles a lo largo del tiempo.

4 Conclusiones/ Conclusões

La HNF es una neoplasia hepática benigna rara. Suele cursar de forma asintomática y permanecer estable en el tiempo. Es posible un tratamiento conservador con observación reservando la biopsia para lesiones sintomáticas o de gran tamaño cuando existen dudas diagnósticas.



SEHOP
SOCIEDAD ESPAÑOLA
DE HEMATOLOGÍA Y ONCOLOGÍA
PEDIÁTRICAS

1^{ER} CONGRESO IBÉRICO DE HEMATOLOGIA Y ONCOLOGIA PEDIATRICAS

virtual

21 Y 23 SEPT 2021
28 Y 30 SEPT

C0240 PCR COVID-19 POSITIVAS DE MANERA ALTERNANTE EN NIÑA CON RABDOMIOSARCOMA: ¿REINFECCIONES O COVID PERSISTENTE?

María Del Pozo Carlavilla, Verónica Fernández Escobar (Hospital General Universitario de Albacete), María Eli Valerio Alonso (Hospital General de Alicante), María Isabel Buedo Rubio (Hospital General de Albacete)

1 Objetivos/ Metas

Describir las características clínicas y manejo de una paciente en edad pediátrica con diagnóstico de rhabdomyosarcoma con sospecha de reinfecciones por SARS-COV-2 en un centro de tercer nivel.

2 Material y Métodos/ Material e métodos

Estudio descriptivo, retrospectivo realizado tras revisión de datos clínicos registrados en historia clínica informatizada.

3 Resultados

Niña de 3 años con Rhabdomyosarcoma embrionario en miembro superior izquierdo diagnosticada en Septiembre de 2020, en tratamiento según protocolo EpSSG RMS 2005, grupo alto riesgo F. Presentó infección por SARS-COV2 a principios de Enero de 2021, durante ingreso programado para resección quirúrgica del tumor, presentando clínica catarral leve, sin precisar tratamiento dirigido. Se continuó ingreso con aislamiento de la paciente, repitiendo PCR de SARS COV2 a los 14 días de la primera, negativizándose, por lo que se decide alta domiciliaria. Presenta nueva detección de PCR positiva tras administración de quimioterapia 1º IVA post-quirugía en Febrero, sin clínica asociada, presentando en la analítica realizada en ese momento linfopenia y neutropenia. Se realiza serología, mostrando IgM para SARS COV2, sin detectar IgG, encontrándose asintomática. Se realiza aislamiento domiciliario de la paciente y se repite la PCR en 7 días, negativizándose de nuevo. Nuevamente se detecta PCR positiva en Abril coincidente con nadir de neutropenia tras administración de IVA. Se repite serología con IgG positiva con título de 1818 U/mL. No se retrasó ningún ciclo de administración de quimioterapia al permanecer asintomática en todo momento, sin efectos secundarios destacables. Actualmente la niña se encuentra en tratamiento de mantenimiento y en remisión completa.

4 Conclusiones/ Conclusões

A pesar de que los recursos invertidos en investigación sobre el nuevo coronavirus, existe falta de evidencia científica de calidad en algunos aspectos importantes sobre esta infección. Uno de ellos es la necesidad de más datos acerca de las características clínicas peculiares en pacientes pediátricos inmunodeprimidos como son los niños y adolescentes con cáncer. En este sentido, existen escasas publicaciones acerca de los test positivos de manera alternante o persistentes en estos pacientes, sin quedar claro cuál es el mejor manejo ante casos de reinfecciones paucisintomáticas. Es necesario seguir investigando y publicar estudios sobre infección persistente y reinfecciones en niños con cáncer para poder conocer más sobre el mejor manejo en estos pacientes y realizarlo de acuerdo a las recomendaciones de la medicina basada en la evidencia.



SEHOP
SOCIEDAD ESPAÑOLA
DE HEMATOLOGÍA Y ONCOLOGÍA
PEDIÁTRICAS

1^{ER} CONGRESO IBÉRICO DE HEMATOLOGIA Y ONCOLOGIA PEDIATRICAS

virtual

21 Y 23 SEPT 2021
28 Y 30 SEPT

C0241 CINÉTICA DE BIOMARCADORES DURANTE EPISODIOS FEBRILES EN PACIENTES PEDIÁTRICOS CON CÁNCER

Ana de Lucio Delgado, Jose Antonio Villegas Rubio (Sección oncología pediátrica. Hospital Universitario Central de Asturias, Oviedo. España), Corsino Rey Galán (Intensivos pediátricos, Hospital Universitario Central de Asturias, Oviedo, España), Gonzalo Solís Sánchez (Servicio de Neonatología. Hospital Universitario Central de Asturias. Oviedo. España), Belén Prieto García (Laboratorio de Bioquímica. Hospital Universitario Central de Asturias. Oviedo. Asturias.)

1 Objetivos/ Metas

Investigamos la cinética de PCR, PCT, IL-6 y MR-proADM en una cohorte bien definida de pacientes pediátricos febriles con cáncer para probar la hipótesis de que las concentraciones plasmáticas más altas y la ausencia de una disminución rápida de los valores máximos se asociarían con la gravedad de la infección.

2 Material y Métodos/ Material e métodos

Se realizó un estudio prospectivo descriptivo y analítico de pacientes con cáncer y fiebre (≤ 18 años) en un Hospital Universitario entre enero de 2018 y diciembre de 2019. Se recopiló la siguiente información: sexo, edad, diagnóstico, fecha y síntomas al diagnóstico e historial médico (tipo de cáncer, estadio, tratamiento y comorbilidades). Los episodios se agruparon en tres grupos: infección bacteriana, no infección bacteriana y síndrome de respuesta inflamatoria sistémica (SRIS).

3 Resultados

Se incluyeron ciento treinta y cuatro episodios (37 pacientes). En 38 episodios el diagnóstico fue de infección bacteriana. Los biomarcadores se midieron en cuatro puntos diferentes: al diagnóstico, 12-24 horas, 25-48 horas y 49-72 horas tras inicio de episodio febril. Todos los biomarcadores disminuyeron progresivamente tras alcanzar su nivel máximo. La IL-6 y MR-proADM mostraron una tendencia hacia niveles más altos en el grupo SRIS. Las infecciones bacterianas presentaron con mayor frecuencia valores de PCT por encima del punto de corte ($> 0,5$ ng / ml) a las 12-24 horas.

4 Conclusiones/ Conclusões

En nuestra experiencia, la cinética de la IL-6 es más rápida que la cinética de la PCT y ambas son más rápidas que la PCR en pacientes con fiebre y cáncer que presentan una buena evolución como se ha descrito previamente en otros grupos de pacientes, incluidos los pacientes sin cáncer.



SEHOP
SOCIEDAD ESPAÑOLA
DE HEMATOLOGÍA Y ONCOLOGÍA
PEDIÁTRICAS

1^{ER} CONGRESO IBÉRICO DE HEMATOLOGIA Y ONCOLOGIA PEDIATRICAS

virtual

21 Y 23 SEPT 2021
28 Y 30 SEPT

C0242 ANÁLISIS DESCRIPTIVO DEL PROCESO FINAL DE VIDA EN PACIENTES ONCO – HEMATOLÓGICOS.

Ana Bartolomé Muñoz, María José Granados Prieto (Servicio Hematooncología Pediátrica, Hospital Universitario Torrecárdenas, Almería, España.), Eduardo Rodríguez De La Cruz (Servicio Hematooncología Pediátrica, Hospital Universitario Torrecárdenas, Almería, España.), Cristina Jiménez Cobo (Servicio Hematooncología Pediátrica, Hospital Universitario Torrecárdenas, Almería, España.), Carmen Sánchez Ramírez (Servicio Hematooncología Pediátrica, Hospital Universitario Torrecárdenas, Almería, España.), María Ángeles Vázquez López (Servicio Hematooncología Pediátrica, Hospital Universitario Torrecárdenas, Almería, España.), Francisco Ángel Lendínez Molinos (Servicio Hematooncología Pediátrica, Hospital Universitario Torrecárdenas, Almería, España.)

1 Objetivos/ Metas

En los últimos años se ha producido un incremento en las tasas de supervivencia en el cáncer infantil, sin embargo, aún hoy un 20% no alcanza la curación, siendo subsidiarios de ser manejados en programas de Cuidados Paliativos Pediátricos (CPP), con manejo integral de las esferas clínica, psicosocial y espiritual. El objetivo del trabajo es describir las características clínicas y necesidades de los pacientes oncohematológicos fallecidos en nuestro centro entre enero 2008 y diciembre 2020, analizar los cuidados recibidos en final de vida, participación de la familia, soporte psicológico y seguimiento del duelo.

2 Material y Métodos/ Material e métodos

Estudio descriptivo de los pacientes oncohematológicos fallecidos en los últimos 13 años en nuestro hospital con enfermedad incurable avanzada. Se recogieron los siguientes datos:

- Epidemiología y clínica: género, diagnóstico, edad al fallecimiento, lugar del fallecimiento, síntomas durante situación de últimos días, utilización de sedación paliativa.
- Participación de los padres en la toma de decisiones y cuidados.
- Soporte psicológico y espiritual al paciente y familia.
- Intervención social.
- Seguimiento del duelo.

3 Resultados

Entre enero 2008 y diciembre 2020 fallecieron 36 pacientes (24 varones), con edad media al éxitus de 6'8 años. Leucemias, tumores intracraneales y neuroblastomas constituyeron el 69% de causas fundamentales. La causa final de muerte fue: progresión de enfermedad (19 casos), infecciosa (13) y coma neurológico (4).

En fase final de vida, dolor y desnutrición fueron los síntomas más frecuentemente observados (88%), seguidos de respiratorios (69%), y neurológicos y hematológicos (53%). En todos los casos se utilizó sedación en fase de agonía. Un paciente falleció en su domicilio, 22 en planta y 13 en UCIP.

Cuando quedó definida la terminalidad, la participación paterna en el cuidado fue total. Todas las familias recibieron soporte psicológico, 4 demandaron apoyo espiritual, y 13 requirieron intervención social. Hubo seguimiento de duelo en 32 casos (5 fueron duelo complicado).

4 Conclusiones/ Conclusões

- Todos nuestros pacientes recibieron atención multidisciplinar reglada coincidiendo con la puesta en marcha de la Unidad de CPP en nuestro centro.
- La participación de la familia en la toma de decisiones en final de vida junto a profesionales se constató en todos los casos.
- El apoyo psicológico y social constituyó un pilar importante para elaborar el duelo y estuvo presente en la mayoría de los casos.
- Las Unidades de CPP son fundamentales para garantizar la cobertura de necesidades al final de la vida, dando continuidad a la elaboración y seguimiento del duelo.



SEHOP
SOCIEDAD ESPAÑOLA
DE HEMATOLOGÍA Y ONCOLOGÍA
PEDIÁTRICAS

1^{ER} CONGRESO IBÉRICO DE HEMATOLOGIA Y ONCOLOGIA PEDIATRICAS

virtual

21 Y 23 SEPT 2021
28 Y 30 SEPT

C0246 ACTUACIÓN DE ENFERMERÍA DURANTE EL TRATAMIENTO CON BLINATUMOMAB EN LA LEUCEMIA LINFOBLÁSTICA AGUDA EN RECAÍDA.

MARIA ISABEL DONOSO CALERO, VANESA GONZALEZ LARA (ONCOHEMATOLOGIA PEDIATRICA HOSPITAL VIRGEN DE LA SALUD DE TOLEDO), SHEILA PLAZA GONZALEZ (ONCOHEMATOLOGIA PEDIATRICA HOSPITAL VIRGEN DE LA SALUD DE TOLEDO), EVA MARIA MONCUNILL MARTINEZ (ONCOHEMATOLOGIA PEDIATRICA HOSPITAL VIRGEN DE LA SALUD DE TOLEDO)

1 Objetivos/ Metas

En España se diagnostican anualmente unos 1.100 casos de cáncer infantil, siendo la Leucemia Linfoblástica Aguda el cáncer más frecuente durante la infancia. La primera línea de intervención de esta enfermedad es la quimioterapia convencional. En el caso de que se produzca una recaída de alto riesgo tras la remisión de la enfermedad, se establece una segunda línea de tratamiento con inmunoterapia. El Blinatumomab es un anticuerpo monoclonal indicado como tratamiento de elección en las recaídas de alto riesgo. Para su administración es necesaria la intervención de un profesional enfermero desde la recepción de este fármaco hasta finalizar su administración. Por este motivo, se realiza un plan de cuidados estandarizados a través de un caso clínico para implementar el manejo que requiere el Blinatumomab de manera adecuada, y así poner de manifiesto el papel de la enfermería durante el proceso de atención enfermera.

2 Material y Métodos/ Material e métodos

Fue necesario realizar una búsqueda bibliográfica con las palabras clave "Pediatric Patient", "Acute Lymphoblastic Leukemia" "Nursing Cares" y "Blinatumomab" y los operadores booleanos AND y OR en diferentes bases de datos como Cochrane, Pubmed, WOSS y Scopus. Además, se han empleado bibliografías de páginas webs, libros y guías de práctica clínica.

3 Resultados

Este plan de cuidados se basa en la taxonomía NANDA, NIC, NOC con el fin de brindar al paciente y a su familia unos cuidados de calidad, seguridad y de eficacia sirviendo de guía para protocolizar los cuidados enfermeros durante la administración del Blinatumomab. Esta herramienta permite conocer las vías de actuación de enfermería para futuros casos similares

4 Conclusiones/ Conclusões

El tratamiento de la leucemia linfoblástica aguda en recaída ha ido evolucionando hasta incluir los anticuerpos monoclonales cuando la recaída es de alto riesgo. Se establece el tratamiento con Blinatumomab como inmunoterapia en la Leucemia Linfoblástica Aguda en recaída tras haberse administrado quimioterapia. Este anticuerpo monoclonal actúa como nexo de unión entre los Linfocitos T y las células cancerosas para aproximarlas, reconocerlas y poder combatir las. Debido a la novedosa situación, es necesario fomentar la investigación en el campo oncológico pediátrico, donde los profesionales sanitarios adquieran conocimientos para identificar, reducir y paliar los efectos adversos. La realización de un plan de cuidados estandarizados para homogeneizar y humanizar los cuidados enfermeros es una herramienta indispensable que garantiza la seguridad en el manejo del fármaco y en la calidad de vida del paciente y su familia.



SEHOP
SOCIEDAD ESPAÑOLA
DE HEMATOLOGÍA Y ONCOLOGÍA
PEDIÁTRICAS

1^{ER} CONGRESSO IBÉRICO DE HEMATOLOGIA Y E ONCOLOGIA PEDIATRICAS

virtual

21 Y 23 SET
28 Y 30 SET 2021

C0253 DOENÇA ONCOLÓGICA NO PRIMEIRO ANO DE VIDA – CASUÍSTICA DE 10 ANOS

Joana Martins, *Gabriela Caldas* (Instituto Português de Oncologia Francisco Gentil, Lisboa, Portugal), *Filomena Pereira* (Instituto Português de Oncologia Francisco Gentil, Lisboa, Portugal)

1 Objetivos/ Metas

A doença oncológica no primeiro ano de vida tem características epidemiológicas e clínicas diferentes dos outros grupos etários. Existem poucos estudos sobre a sua incidência neste grupo etário. O objetivo deste trabalho foi caracterizar a doença oncológica com diagnóstico no primeiro ano de vida, particularmente a incidência dos principais tipos de tumores.

2 Material y Métodos/ Material e métodos

Estudo retrospectivo por consulta dos processos clínicos dos doentes com diagnóstico de doença oncológica com menos de 12 meses de idade, admitidos no Serviço de Pediatria do Instituto Português de Oncologia de Lisboa, entre janeiro de 2010 e dezembro de 2019. Comparação entre a incidência dos principais tipos de tumores no período neonatal e no período de 1 a 12 meses de idade. Análise estatística realizada com recurso a Microsoft® Excel e SPSS® Statistics 24.

3 Resultados

Foram admitidos 240 lactentes com menos de 12 meses de idade, confirmando-se doença oncológica em 158, 140 dos quais com tumores malignos. Relativamente a este grupo, 53% dos doentes eram do sexo masculino, a mediana de idade foi de 5,9 meses e 16 casos (11%) foram diagnosticados no período neonatal. O tipo de tumor mais frequente foi o neuroblastoma (21%), seguido de tumores do sistema nervoso central (17%) e de leucemias (12%). No período neonatal, os tumores germinativos foram o tipo de tumor mais frequente (31%), com uma incidência estatisticamente superior em relação ao grupo de 1 a 12 meses ($p=0,02$). No período de estudo (mediana de follow-up de 6 anos), ocorreram 32 mortes, correspondendo a uma mortalidade global de 23%. No grupo com diagnóstico no período neonatal, a mortalidade foi de 25%.

4 Conclusiones/ Conclusões

Na nossa amostra, o neuroblastoma foi o tumor mais frequente no primeiro ano de vida, semelhando o descrito na literatura. De igual forma, os tumores germinativos foram o tipo de tumor mais frequente no período neonatal, com uma incidência estatisticamente superior quando comparado com o grupo de 1 a 12 meses. A mortalidade na nossa amostra foi superior ao reportado em alguns estudos, podendo ser explicado pelas diferentes metodologias utilizadas e pelo fato de o nosso hospital admitir uma baixa percentagem de doentes com tumores benignos. É importante a realização de um estudo prospetivo multicêntrico da doença oncológica no primeiro ano de vida para melhor caracterizar esta temática.



SEHOP
SOCIEDAD ESPAÑOLA
DE HEMATOLOGÍA Y ONCOLOGÍA
PEDIÁTRICAS

1^{ER} CONGRESO IBÉRICO DE HEMATOLOGIA Y ONCOLOGIA PEDIATRICAS

virtual

21 Y 23 SEPT 2021
28 Y 30 SEPT

C0256 TROMBOPENIA COMO HALLAZGO INICIAL DE UNA INMUNODEFICIENCIA VARIABLE COMÚN (IDVC)

Raquel Herraiz Cristóbal, Sheila Cenzano Ruiz (Pediatria, Sección Oncohematología Infantil. Hospital Clínico de Valladolid. Valladolid. España), Blanca Llorente Sanz (Pediatria, Sección Oncohematología Infantil. Hospital Clínico de Valladolid. Valladolid. España), José Luis Moreno Carrasco (Pediatria, Sección Oncohematología Infantil. Hospital Clínico de Valladolid. Valladolid. España), Elena Urbaneja Rodríguez (Pediatria, Sección Inmuno-reumatología Infantil. Hospital Clínico de Valladolid. Valladolid. España), Laura Escobar Fernández (Pediatria, Sección Oncohematología Infantil. Hospital Clínico de Valladolid. Valladolid. España), María Elena Pérez Gutiérrez (Pediatria, Sección Oncohematología Infantil. Hospital Clínico de Valladolid. Valladolid. España), Hermenegildo González García (Pediatria, Sección Oncohematología Infantil. Hospital Clínico de Valladolid. Valladolid. España)

1 Objetivos/ Metas

Aportar un caso clínico con diagnóstico final de IDVC que debutó con citopenias inmunes, inicialmente trombopenia aislada y posteriormente anemia hemolítica y leucopenia.

2 Material y Métodos/ Material e métodos

Caso clínico.

3 Resultados

Paciente mujer, sin antecedentes familiares ni personales relevantes. Debutó a los 13 años, en octubre de 2019, con metrorragia y trombopenia de 1000/mcl, y resto de series normales. Se administró gammaglobulina con buena respuesta. En septiembre de 2020 presentó nuevo descenso de plaquetas asociando epistaxis, administrándose nuevamente inmunoglobulinas con respuesta. Se realizó aspirado de médula ósea: hiperplasia megacariocítica compatible con trombopenia de origen inmune.

En remisión completa hasta febrero de 2021 donde se objetivó bicitopenia (anemia autoinmune) y leucopenia: Hb 9,7 gr/dL, Hto 28%, VCM 80,23 fl, HCM 27,9 pg, Plaquetas 182.000/mcl, Leucocitos 3200/mcl (Linfocitos 739/mcl, Neutrófilos 2090/mcl) Bilirrubina total 2.5 mg/dL a expensas de indirecta, Test Coombs directo negativo, con estudio ampliado detectándose anticuerpos IgM en el eluido. Se realizó estudio serológico de COVID (dado el contexto pandémico) objetivándose serología compatible con Ig totales positivos: Ac SARS-CoV-2IgG ELISA (anti-N y anti-S) NEGATIVO, IgA + IgM ELISA (anti-N y anti-S) NEGATIVO, IgG Totales quimioluminiscencia (anti-N) POSITIVO.

Se completó estudio con perfil inmunológico con inmunoglobulinas (Ig): IgG 296,0 mg/dl, Ig A 18,6 mg/dl, Ig M 14,8 mg/dL. Estudio de poblaciones linfocitarias: disminución de células B de memoria y de células plasmáticas circulantes en casi todas las subclases (IgG1, IgG2, IgA1 y IgA2), observándose producción dentro de las células B. Disminución de células CD8+ y de células NK, estando en límites inferiores a la normalidad. Hallazgos compatibles con déficit de anticuerpos tipo IDVC. Se realizó estudio genético dirigido a IDVC encontrándose una variante en el gen IGLL1, variante N; _020070.4: c: 425C>T p. (pro142Leu) en heterocigosis, herencia autosómica recesiva, catalogada como variante de significado incierto.

La paciente, actualmente con 16 años, se encuentra asintomática sin presentar infecciones, y se ha iniciado tratamiento con inmunoglobulinas periódicas.

4 Conclusiones/ Conclusões

Es importante dentro del estudio inicial y en el seguimiento de la trombopenia inmune primaria, además de la historia clínica y tras descartar procesos oncohematológicos, valorar cuidadosamente el estudio inmunitario.

Los trastornos no infecciosos en pacientes con IDCV incluyen desde la forma más común con enfermedad pulmonar (bronquiectasis e infiltrados linfoides intersticiales o granulomatosos) hasta afectación gastrointestinal autoinmune (cursa con enteropatía similar a una enfermedad inflamatoria intestinal), afectación hepática, esplenomegalia y linfoproliferación, o bien citopenias autoinmunes (11%) como es el caso de nuestra paciente.



SEHOP
SOCIEDAD ESPAÑOLA
DE HEMATOLOGÍA Y ONCOLOGÍA
PEDIÁTRICAS

1^{ER} CONGRESO IBÉRICO DE HEMATOLOGIA Y ONCOLOGIA PEDIATRICAS

virtual

21 Y 23 SEPT 2021
28 Y 30 SEPT

C0257 TRANSICIÓN DE LA UNIDAD PEDIÁTRICA A LA DE ADULTOS. SOY JARDINERO Y ESTOY CONTENTO DE HABEROS CONOCIDO

David Díaz Pérez (Son Espases, Palma, Baleares, España), Mercedes Guibelalde del Castillo, Alicia Gómez Fernández (Son Espases, Palma, Baleares, España), Jose Antonio Salinas Sanz (Son Espases, Palma, Baleares, España), Samuel Navarro Noguera (Son Espases, Palma, Baleares, España), Laia Ferrés Ramis (Son Espases, Palma, Baleares, España), Mikael Lorite Reggiori (Son Espases, Palma, Baleares, España), Elena García Macías (Son Espases, Palma, Baleares, España)

1 Objetivos/ Metas

Visión del paciente como experto en la transición de la edad pediátrica a la adolescencia

2 Material y Métodos/ Material e métodos

Reflejamos la narración del paciente desde la perspectiva en esta transición durante el tratamiento de la enfermedad a través de una entrevista semi-estructurada
Joven actualmente de 21 años, a los 14 años diagnosticado de LLA T, en segunda remisión completa tras trasplante haploidéntico realizado a los 18 años en la unidad de adultos

3 Resultados

Refiere la comparación de las experiencias vividas en la unidad pediátrica y de adultos en la unidad de trasplante
Revisa los puntos de:
-importancia de cuidados compartidos
-el momento de salida de la unidad pediátrica: crea una percepción de abandono o desprotección si no se realiza de manera progresiva y compartida
- adaptación de la información según la edad y madurez de los pacientes: los pediatras mostramos una mayor adaptación
- integración en la toma de decisiones compartidas con la familia: mayor implicación por parte de pediatría
-tolerancia a las demandas de negociación (sedaciones para procedimientos dolorosos): menos por parte del equipo de adultos "Esto es adultos y te vamos a tratar como un adulto"
-no se le ha "infantilizado" en la unidad de pediatría: considera que le ha gustado compartir sus actividades con otros chicos de su edad y también de los más pequeños

4 Conclusiones/ Conclusões

El paciente ha colaborado en recomendaciones divulgativas de procedimientos para otros pacientes a través de redes sociales y vídeos didácticos para residentes y enfermería.
El relato del adolescente como sujeto implicado en el diseño de la transición de cuidados desde la edad pediátrica a la de adultos es útil para elaborar los protocolos de transición entre las unidades.
No ha sido hasta recientemente que los pacientes en edad pediátrica han sido incluidos hasta la edad de 18 años en nuestra unidad, sin embargo este paso ha estado facilitado por una buena comunicación y relación previa con la unidad de hematología de adultos.



SEHOP
SOCIEDAD ESPAÑOLA
DE HEMATOLOGÍA Y ONCOLOGÍA
PEDIÁTRICAS

1^{ER} CONGRESO IBÉRICO DE HEMATOLOGÍA Y ONCOLOGÍA PEDIÁTRICAS

virtual

21 Y 23 SEPT 2021
28 Y 30 SEPT

C0258 REVISIÓN DEL MANEJO DIAGNÓSTICO, TERAPÉUTICO Y FACTORES ASOCIADOS A LA CRONIFICACIÓN DE UNA COHORTE DE PACIENTES DIAGNOSTICADOS DE TROMBOCITOPENIA INMUNE PRIMARIA (PTI) EN UN HOSPITAL DE TERCER NIVEL.

IRIS GONZALEZ CABALEARO (Hospital Álvaro Cunqueiro Vigo), ANA MARIA OCAMPO ALVAREZ, MARIA TALLON GARCIA (Hospital Álvaro Cunqueiro Vigo)

1 Objetivos/ Metas

Determinar si alguna característica clínica, demográfica o analítica al debut de una PTI aguda predispone a la cronificación o refractariedad de la enfermedad y la necesidad de realización de aspirado de médula ósea o estudio genético en estos casos, así como evaluar la respuesta al tratamiento en estos pacientes

2 Material y Métodos/ Material e métodos

Estudio observacional, descriptivo y retrospectivo incluyendo a 90 pacientes pediátricos diagnosticados de PTI desde enero de 2010 hasta diciembre de 2020 procedentes de un hospital de tercer nivel.

3 Resultados

Fueron incluidos 90 pacientes, con una media de edad al debut de 5,6 años ($\pm 3,7$). No se han objetivado diferencias en cuanto al sexo ni edad para la tasa de cronificación ni datos de atipia ($p=0,156$). Un 94% presentaron algún tipo de hemorragia al diagnóstico (83% cutánea, 36 % mucosas, 7,5% hematuria, 1,1% compromiso vital). La media de tiempo al alta fue de 4 días ($\pm 3,3$) y de remisión completa 114 días (± 95). En 71% se objetivó un antecedente infeccioso o vacunación previa, objetivándose una menor tendencia a la cronificación en estos pacientes y mayor rapidez en la recuperación de la cifra plaquetaria ($p=0,018$). Un 22% desarrollaron una PTI crónica, mostrando el análisis multivariable una asociación estadísticamente significativa protectora para la edad inferior a 6 años (OR:0,098(0,021-0,439), $p=0,009$) y el antecedente de patología infecciosa (OR:0,333 (0,179-0,765), $p=0,019$).

De los pacientes con PTI crónica un 22% recibieron Rituximab, un 27% fueron esplenectomizados y un 72% recibieron análogos del receptor de trombopoyetina. Desde el inicio de la terapia con eltrombopag ninguno de los pacientes presentó nuevos episodios de recidiva ni sangrado, así como niveles de plaquetas estables, frente a los pacientes tratados con bolos de corticoides ($p=0,03$) reduciéndose el número de ingresos hospitalarios en estos pacientes ($p=0,002$).

En un 47% se realizó MO (36% por presentación atípica y 64% por refractariedad) todos con morfología normal medular. Siete de nuestros pacientes presentaron una mutación en el estudio genético (4 de ellas de significado incierto y 3 patológicas: MYH9, NBEAL12, GP1BB).

4 Conclusiones/ Conclusões

A pesar de que la PTI clásica se trata de un proceso agudo y de buen pronóstico, un porcentaje importante de pacientes presentan cronificación del proceso. Una edad inferior a 6 años y el antecedente de infección vírica previa podrían condicionar una pronta recuperación. El uso de análogos del receptor de trombopoyetina supone una novedad terapéutica con buenos resultados para los pacientes refractarios y con PTI crónica.



SEHOP
SOCIEDAD ESPAÑOLA
DE HEMATOLOGÍA Y ONCOLOGÍA
PEDIÁTRICAS

1^{ER} CONGRESO IBÉRICO DE HEMATOLOGIA Y ONCOLOGIA PEDIATRICAS

virtual

21 Y 23 SEPT 2021
28 Y 30 SEPT

C0263 PSEUDOPROGRESIÓN EN PACIENTES CON TUMORES EMBRIONARIOS DE ROSETAS MULTICAPA (ETMR)

Elena Carceller Ortega, Felisa Vázquez Gómez (Unidad de Oncohematología Pediátrica, Hospital Infantil Universitario Niño Jesús, Madrid, España), Sara Sirvent Cerdá (Servicio de Radiodiagnóstico, Hospital Infantil Universitario Niño Jesús, Madrid, España), Victoria Fioravanti Rassat (Unidad de Oncohematología Pediátrica, Hospital Infantil Universitario Niño Jesús Madrid, España), Alvaro Lassaletta Atienza (Unidad de Oncohematología Pediátrica, Hospital Infantil Universitario Niño Jesús Madrid, España)

1 Objetivos/ Metas

Descripción de casos de pseudoprogresión en pacientes con ETMR

2 Material y Métodos/ Material e métodos

Presentación de 4 casos clínicos

3 Resultados

Caso 1:

Paciente de 2 años con diagnóstico de ETMR supratentorial con resección completa. Recibe tratamiento según protocolo COG 99703. Se administra adicionalmente radioterapia focal (54 Gy). A los 5 meses de terminar el tratamiento presenta monoparesia de brazo izquierdo. En RM se objetiva lesión expansiva supratentorial compatible con recidiva. Se decide tratamiento paliativo con quimioterapia metronómica. Tras 8 meses, en resonancia de control se evidencia importante disminución de la lesión y del efecto masa siendo compatible con pseudoprogresión.

Caso 2:

Paciente de 2 años con diagnóstico de ETMR infratentorial localizado con resección parcial. Recibe dos ciclos de inducción según protocolo COG 99703 seguido de quimioterapia según protocolo Euroharb. Completa el tratamiento con protonterapia focal. A los 5 meses del fin de tratamiento, en una RM de rutina se objetivan lesiones nodulares con captación de contraste en la protuberancia. Se mantiene actitud expectante con seguimiento por imagen, con desaparición progresiva de las lesiones sugestivas de pseudoprogresión.

Caso 3:

Paciente de 14 meses con diagnóstico de ETMR en región pineal localizado con resección completa. Recibe tratamiento según protocolo COG 99703. Tras la inducción se administra protonterapia focal (54 Gy). Tras el primer trasplante autólogo presenta deterioro neurológico (hipotonía e irritabilidad) con lesiones en RM compatibles con pseudoprogresión. Recibe bevacizumab quincenal presentando mejoría clínica y radiológica tras 5 dosis.

Caso 4:

Paciente de 3 años con diagnóstico de ETMR supratentorial localizado con resección parcial. Recibe tratamiento según protocolo COG 99703 y protonterapia focal (54 Gy). Después del tercer ciclo de quimioterapia, la RM revela nuevas lesiones pseudonodulares en la cavidad de resección compatibles con pseudoprogresión con clínica neurológica asociada. Se inicia dexametasona. Ante la falta de respuesta se administra bevacizumab. Presenta mejoría clínica y radiológica tras 4 dosis.

4 Conclusiones/ Conclusões

Los ETMR son tumores cerebrales embrionarios raros y agresivos. Aunque no existen guías definitivas de tratamiento óptimo, el tratamiento suele incluir cirugía con la máxima resección segura posible, quimioterapia convencional, quimioterapia de altas dosis con trasplante autólogo y radioterapia focal.

La combinación de quimioterapia y radiación puede provocar la aparición de nuevas lesiones que simulan una progresión tumoral, fenómeno conocido como pseudoprogresión. El uso de protonterapia y altas dosis de quimioterapia parece aumentar el riesgo de pseudoprogresión. Reconocer este fenómeno es esencial para evitar intervenciones innecesarias y el estrés emocional de los pacientes afectados y sus familias.



SEHOP
SOCIEDAD ESPAÑOLA
DE HEMATOLOGÍA Y ONCOLOGÍA
PEDIÁTRICAS

1^{ER} CONGRESO IBÉRICO DE HEMATOLOGIA Y ONCOLOGIA PEDIATRICAS

virtual

21 Y 23 SEPT 2021
28 Y 30 SEPT

C0266 TUMORES MIOFIBROBLÁSTICOS DE LA VÍA AÉREA. EXPERIENCIA EN NUESTRO CENTRO EN LOS ÚLTIMOS 6 AÑOS.

Mónica Camacho Arias, Belén Huguet Rodríguez (Pediatria, Hospital 12 de Octubre, Madrid, España), Lara Merino Mateo (Cirugía Pediátrica, Hospital 12 de Octubre, Madrid, España), Vanesa Pérez Alonso (Pediatria, Hospital 12 de Octubre, Madrid, España), Nerea Domínguez Pinilla (Pediatria, Hospital 12 de Octubre, Madrid, España), Pilar Areal Hidalgo (Pediatria, Hospital 12 de Octubre, Madrid, España), María Baro Fernández (Pediatria, Hospital 12 de Octubre, Madrid, España)

1 Objetivos/ Metas

Análisis de los tumores miofibroblásticos de la vía aérea desde 2016 hasta la actualidad en nuestro hospital

2 Material y Métodos/ Material e métodos

Estudio descriptivo retrospectivo mediante revisión de historias clínicas. Se recogen datos epidemiológicos, clínica inicial, pruebas complementarias, anatomía patológica con caracterización molecular, tratamiento recibido y evolución.

3 Resultados

Se incluyen todos los pacientes diagnosticados de tumores miofibroblásticos inflamatorios de vía aérea desde 2016 hasta la actualidad, obteniendo un total de 5 pacientes. La mediana de edad al diagnóstico fue de 6 años. La clínica fue de tos, estridor o dificultad respiratoria en todos ellos. Un paciente asociaba astenia y anorexia. Un paciente presentó bradicardia extrema y requirió intubación endotraqueal al diagnóstico. En 4 pacientes se realizó despistaje de inmunodeficiencias (subpoblaciones linfocitarias) y de infecciones asociadas (muestras de lavado broncoalveolar y estudio microbiológico de las biopsias). No se aislaron microorganismos causantes del cuadro en ningún caso. A todos los pacientes se les realizó TAC pulmonar para el diagnóstico y a uno de ellos PET TAC. Un paciente presentaba además del estrechamiento laringotraqueal, afectación parenquimatosa pulmonar bilateral. El diagnóstico anatomopatológico fue de tumor miofibroblástico en todos ellos. 4 de ellos (80%) presentan translocación del gen ALK (receptor tirosina quinasa del linfoma anaplásico) realizado por FISH. Un paciente presentó resolución espontánea de la tumoración. A tres pacientes se les realizó resección quirúrgica completa. Dos pacientes precisaron traqueostomía por compromiso de vía aérea. Uno de los pacientes, con reordenamiento de ALK, inicia tratamiento con Crizotinib (dosis inicial 166 mg/m², que se aumentó progresivamente hasta 210 mg/m²/día) por afectación difusa de la vía aérea sin posibilidad de resección quirúrgica. La evolución en todos ellos fue buena, con resolución o mejoría de la clínica.

4 Conclusiones/ Conclusões

Los tumores miofibroblásticos inflamatorios son una entidad poco frecuente, cuya localización más frecuente es el pulmón y el abdomen. Afecta principalmente a niños y adultos jóvenes. Hasta en el 50% de los casos presentan reordenamiento ALK. Generalmente son tumores benignos, pero pueden comprimir estructuras adyacentes, malignizar o incluso metastatizar. Puede ser secundario a infecciones por micobacterias en cuyo caso es recomendable hacer despistaje de inmunodeficiencias asociadas. El tratamiento es quirúrgico y en casos seleccionados con mutación de ALK puede emplearse terapia dirigida con fármacos como Crizotinib.



SEHOP
SOCIEDAD ESPAÑOLA
DE HEMATOLOGÍA Y ONCOLOGÍA
PEDIÁTRICAS

1^{ER} CONGRESO IBÉRICO DE HEMATOLOGIA Y ONCOLOGIA PEDIATRICAS

virtual

21 Y 23 SEPT 2021
28 Y 30 SEPT

C0268 SHUNT PORTO-SISTÉMICO INTRAHEPÁTICO TRANSYUGULAR (TIPS) COMO TRATAMIENTO DE ENFERMEDAD VENOOCCLUSIVA HEPÁTICA SEVERA

María Cristina Vicho González, María Elena Mateos González (Hospital Reina Sofía de Córdoba), Jenifer Calviño Molinero (Hospital Reina Sofía de Córdoba), Olga Díaz Morales (Hospital Reina Sofía de Córdoba), María Luisa Moreno Tejero (Hospital Materno Infantil de Badajoz)

1 Objetivos/ Metas

La enfermedad veooclusiva hepática (EVOH) es una complicación muy grave tras trasplante de progenitores hematopoyéticos (HCT) o menos frecuentemente tras quimioterapia o radioterapia no asociada con HCT. Los casos severos la mortalidad asciende al 50-80%.

2 Material y Métodos/ Material e métodos

3 Resultados

Caso 1:

Niño de 6 años diagnosticado rhabdomyosarcoma de vías biliares con metástasis pulmonares en tratamiento según EpSSG RMS 2005. Ifosfamida+vincristina+actinomicina+doxorubicina (IVA+Doxorubicina). Episodio de síndrome de obstrucción sinusoidal tras primer IVA+Doxorubicina recibiendo tratamiento con defibrotide que se suspende 5 días después por sangrado.

Continuó tratamiento según RMS Ms COG 0431 (Vincristina+doxorubicina+ciclofosfamida+ifosfamida+etopósido y mantenimiento con vinorelvina+ ciclofosfamida+tensirolimus) + radioterapia sobre lecho tumoral.

En la semana 35 del tratamiento comienza con ascitis, distensión abdominal, ganancia ponderal del 12%, aumento de bilirrubina hasta 3,6 mg/dL y trombocitopenia refractaria. Con sospecha de EVOH se decide realizar shunt porto-sistémico intrahepático transyugular (TIPS) por contraindicación de tratamiento con defibrotide. Durante el procedimiento se realiza biopsia hepática transyugular compatible con EVOH. Descenso de la presión venosa portal de 30 a 15mmHg, recuperación completa de la ascitis, cifra de plaquetas y bilirrubina.

Actualmente el paciente se encuentra en remisión y con TIPS funcional.

Caso 2

Niño de 3 años diagnosticado de neuroblastoma metastásico con n-myc amplificado. Inicio de quimioterapia según protocolo de neuroblastoma alto riesgo HR-NB SIOPEN versión 1,8. Recibe tratamiento quimioterápico intensivo durante 80 días con vincristina+carboplatino+etoposido+ciclofosfamida+cisplatino. Se realizó cirugía del tumor en dos tiempos encontrándose el paciente en muy buena remisión parcial. Sometido a autotrasplante de progenitores hematopoyéticos con acondicionamiento mieloablativo con busulfan+melfalan. El día +21 del trasplante empeoramiento clínico, aumento de peso, distensión abdominal con hepatomegalia asociada a ascitis, diuresis recortada y trombocitopenia refractaria. Inicio de tratamiento con defibrotide con sospecha de EVOH. Empeoramiento clínico progresivo con hepatomegalia masiva, ascitis a tensión e insuficiencia respiratoria, ganancia ponderal progresiva a pesar de la restricción hídrica y la perfusión de furosemida.

Se decide colocación de TIPS ante fracaso de tratamiento médico. Presiones preTIPS son AD 15mmHg, vena porta 23mmHg, gradiente 8mmHg, Presiones postTIPS: AD 16mmHg, ven porta 22mmHg, gradiente 6mmHg. Posteriormente se comprueba un buen flujo del TIPS.

Día + 42 post-trasplante, empeoramiento brusco clínico produciéndose el fallecimiento del paciente por fallo multiorgánico.

4 Conclusiones/ Conclusões

TIPS es una técnica de radiología intervencionista que disminuye la presión venosa portal que podría mejorar la perfusión abdominal y hepática previniendo la necrosis de los hepatocitos. Debería considerarse como una posibilidad de tratamiento ante EVOH severa refractaria a tratamiento.



SEHOP
SOCIEDAD ESPAÑOLA
DE HEMATOLOGÍA Y ONCOLOGÍA
PEDIÁTRICAS

1^{ER} CONGRESO IBÉRICO DE HEMATOLOGIA Y ONCOLOGIA PEDIATRICAS

virtual

21 Y 23 SEPT 2021
28 Y 30 SEPT

C0269 CASO CLÍNICO: ANEMIA HEMOLÍTICA AUTOINMUNE TRAS INFECCIÓN POR SARS-COV-2

Leticia Bueso-Inchausti García, Belén Fernández Monteagudo (Pediatria, Hospital General Universitario Gregorio Marañón, Madrid, España), Agustín Muñoz Cutillas (Pediatria, Hospital General Universitario Gregorio Marañón, Madrid, España), Cristina Mata Fernández (Pediatria, Hospital General Universitario Gregorio Marañón Madrid, España), Jorge Huerta Aragonés (Pediatria, Hospital General Universitario Gregorio Marañón, Madrid, España.)

1 Objetivos/ Metas

La infección por COVID-19 en la población pediátrica presenta generalmente una afectación hematológica más leve que en la adulta, que puede explicarse por una menor madurez inmunológica que da lugar a una menor respuesta inflamatoria sistémica. La aparición de una anemia hemolítica en relación a la infección por COVID-19 está ampliamente descrita en población adulta, siendo escasos los casos pediátricos.

2 Material y Métodos/ Material e métodos

3 Resultados

Niño de 10 años que acude por dolor abdominal de pocas horas de evolución, acompañado de astenia, náuseas y orina colúrica. Negaba fiebre u otra sintomatología infecciosa.

No presentaba antecedentes personales ni familiares de interés.

A la exploración destacaba tendencia a la taquicardia, palidez mucocutánea e ictericia conjuntival. No se palpaban adenopatías ni visceromegalias.

En analítica sanguínea se objetivó anemia regenerativa con hemoglobina 6.1 g/dL, reticulocitos 13.99% (283000/mcL), datos de hemólisis con bilirrubina indirecta 3.5mg/dL, LDH 712U/L y haptoglobina indetectable con test de Coombs directo positivo IgG+++/C3d+ tipo panaglutinina. El frotis sangre periférica, analítica de orina, radiografía de tórax y ecografía abdominal resultaron sin hallazgos significativos. Se realizó despistaje infeccioso presentando en exudado nasofaríngeo PCR SARS-CoV-2 positiva con baja carga viral y serología con IgG anti-SARS-CoV-2 positiva. El estudio serológico para virus de Hepatitis, Epstein Barr, Citomegalovirus, Herpes 6, VIH y Parvovirus B19, resultó negativo.

Se realizó asimismo estudio de inmunidad, presentando linfopenia severa persistente (valor mínimo de 400/mcL) con inmunofenotipo no típico de infección por SARS-CoV2, presentando un patrón T-B+NK-. Asociaba hipogammaglobulinemia M y alteración del perfil T de memoria inmunológica. Ante la sospecha de inmunodeficiencia combinada severa, se cursó estudio genético. El despistaje autoinmunitario (anticuerpos antinucleares y anti-DNA nativo) resultó sin alteraciones.

El paciente recibió tratamiento con Metilprednisolona (2mg/kg/día) presentando respuesta completa pero con reanemización grave al descenso de dosis, requiriendo tratamiento con rituximab, inmunoglobulinas y micofenolato.

4 Conclusiones/ Conclusões

Se trata de un paciente con anemia hemolítica (AH) cuyo trigger, habiendo descartado otras causas, parece la infección por COVID-19. En este caso, el mecanismo fue autoinmune (AHA) probablemente por similitud entre proteínas de la cápside viral con la proteína Ankirina-1 de la membrana eritrocitaria. De hecho, aunque existe algún caso de anemia hemolítica en relación al COVID-19 con Coombs directo negativo, la mayoría son de causa autoinmune. Además, en estos casos lo más frecuente es que presenten desórdenes inmunológicos de base, siendo en el caso de nuestro paciente una inmunodeficiencia combinada severa. El tratamiento fundamental son los corticoides a altas dosis y si no hay respuesta, inmunosupresores como el rituximab.



SEHOP
SOCIEDAD ESPAÑOLA
DE HEMATOLOGÍA Y ONCOLOGÍA
PEDIÁTRICAS

1^{ER} CONGRESO IBÉRICO DE HEMATOLOGIA Y ONCOLOGIA PEDIATRICAS

virtual

21 Y 23 SEPT 2021
28 Y 30 SEPT

C0275 SÍNDROME MIELOPROLIFERATIVO TRANSITORIO ASOCIADO A SÍNDROME DE DOWN. A PROPÓSITO DE TRES CASOS.

DAVID DIAZ PEREZ, Samuel Navarro Noguera (Servicio de Pediatría, Hospital Universitario Son Espases, Palma. España.), Mikael Lorite Reggiori (Servicio de Pediatría, Hospital Universitario Son Espases, Palma. España.), Elena García Macías (Servicio de Pediatría, Hospital Universitario Son Espases, Palma. España.), Mercedes Guibelalde Del Castillo (Servicio de Pediatría, Hospital Universitario Son Espases, Palma. España.), Jose Antonio Salinas Sanz (Servicio de Pediatría, Hospital Universitario Son Espases, Palma. España.)

1 Objetivos/ Metas

Los niños con síndrome de Down (SD) tienen mayor riesgo de desarrollar neoplasias hematológicas que el resto de la población infantil. Así mismo, pueden desarrollar un trastorno mieloproliferativo transitorio (TMT) durante la época neonatal caracterizado por la presencia de un mayor porcentaje de megacarioblastos en sangre periférica (SP) que en medula ósea (MO). Exponemos 3 casos de pacientes con SD que desarrollaron un TMT durante la época neonatal.

2 Material y Métodos/ Material e métodos

Estudio retrospectivo descriptivo de pacientes afectos de SD diagnosticados de TMT en un hospital terciario desde hace 5 años. Se recogen datos clínico-analíticos, anomalías cromosómicas y tratamiento recibido.

3 Resultados

Caso 1: Recién nacida a término. Diagnóstico prenatal de trisomía-21. Al ingreso leucocitosis 27.800/mcl y plaquetopenia 49.300/mcl. En SP presenta 50% de megacarioblastos. Estudio de MO con 8% de megacarioblastos. Cariotipo: GATA-1 positivo. A los 8 días de vida presenta fallo renal agudo por infiltración tumoral que precisa diálisis peritoneal. Se inicia tratamiento con ARA-C subcutánea (sc) 0,5 mg/kg cada 12 horas durante 6 días con remisión completa mantenida.

Caso 2: Recién nacido a término. Screening de cromosopatías prenatal normal. Cesárea urgente por derrame pleural. Al ingreso leucocitosis 96.000/mcl y plaquetopenia 92.000/mcl. En SP presenta 85% de megacarioblastos. Estudio de MO 20% de megacarioblastos. Cariotipo: trisomía-21 con GATA-1 positivo. A los 2 días de vida se realiza exanguinotrasfusión por hiperleucocitosis de 110.000/mcl con mejoría progresiva hasta normalización del hemograma a los 30 días de vida. No recibe tratamiento quimioterápico. Como complicaciones presenta fibrosis hepática perisinusoidal con hepatitis colestásica sin disfunción hepática.

Caso 3: Recién nacido pre-término (36+6 edad gestacional). Screening de cromosopatías no realizado. Cesárea programada por hidrops fetal grave con derrame pleural. Al ingreso leucocitos 60.800/mcl y plaquetopenia 81.500/mcl. En SP presenta 55% de mieloblastos. Genética: Trisomía-21, GATA-1 no realizado. A los 2 días de vida se inicia quimioterapia ARA-C sc (0,5 mg/kg cada 12 horas) suspendida a las 24 horas por fallo renal agudo que precisa diálisis peritoneal. Finalmente a los 8 días de vida se produce éxito por fracaso multiorgánico refractario.

4 Conclusiones/ Conclusões

El TMT debe ser considerado en cualquier recién nacido con SD. La mayoría de los pacientes no requieren tratamiento, los criterios para iniciar quimioterapia con ARA-C son presencia de hiperleucocitosis $>100 \times 10^9/L$ mantenida, disfunción hepática, fallo renal, coagulación intravascular diseminada, hidrops fetal o derrame pericárdico/pleural no secundario a fallo cardiaco. Dos de nuestros pacientes presentaron GATA positivo, y actualmente realizan seguimiento por hematología infantil sin desarrollar LMA.



SEHOP
SOCIEDAD ESPAÑOLA
DE HEMATOLOGÍA Y ONCOLOGÍA
PEDIÁTRICAS

1^{ER} CONGRESSO IBÉRICO DE HEMATOLOGIA Y E ONCOLOGIA PEDIÁTRICAS

virtual

21 Y 23 SET 2021
28 Y 30 SET

C0279 OSTEOSARCOMAS NA IDADE PEDIÁTRICA- CASUÍSTICA DOS ÚLTIMOS 10 ANOS NO IPO-PORTO

Mariana Leitão Santos, Maria João Nogueira (Serviço de Pediatria, Hospital de Braga Braga, Portugal), Sílvia Silva (Serviço de Pediatria, IPO-Porto, Porto, Portugal), Cátia Sousa (Serviço de Pediatria, IPO-Porto, Porto, Portugal), Cristiana Couto (Serviço de Pediatria, IPO-Porto, Porto, Portugal), Catarina Sousa (Serviço de Pediatria, IPO-Porto, Porto, Portugal), Ana Maia (Serviço de Pediatria, IPO-Porto, Porto, Portugal)

1 Objetivos/ Metas

O osteossarcoma é o tumor ósseo mais comum. Tem o primeiro pico de incidência na adolescência. É mais comum em ossos longos, principalmente no fémur, seguido da tíbia e úmero. A sobrevida aos 5 anos é 68%, sendo a idade jovem um fator de bom prognóstico. Este estudo pretende documentar os casos diagnosticados em 10 anos num centro de referência na oncologia pediátrica.

2 Material y Métodos/ Material e métodos

Foram incluídos os doentes com osteossarcoma do IPO-Porto no período de 2010-2020 e pesquisadas as variáveis: género/idade, antecedentes pessoais e familiares, sintomatologia, exames complementares realizados, local e tamanho do tumor, subtipo histológico, metastização, exame objetivo, tratamento, resposta histológica, recorrências, sobrevida e intercorrências.

3 Resultados

Foram identificados 20 doentes, 9 do sexo feminino e 11 do sexo masculino. A média de idades foi 13,2 anos. 9 doentes tinham antecedentes familiares de patologia oncológica. Em 10 doentes o tumor localizava-se no fémur, 7 na tíbia, um no peróneo, um no úmero e um no rádio. A sintomatologia era comum a todos— dor no local do tumor, (17 doentes agravavam com o movimento), 4 referiam dor noturna e 3 trauma prévio. Seis doentes tinham tumefação associada e um fratura patológica. Dois doentes referiam astenia. Seis doentes apresentavam sintomas há um mês ou menos, 7 entre 1-6 meses, 4 6meses-1ano, 2 há um ano e um há 2 anos. Ao exame objetivo 11 apresentavam tumefação/massa local, 7 dor, 5 adenopatias 4 claudicação da marcha.

Todos realizaram TC/RMN da região afetada, TC torácico, PET, estudo analítico e ecocardiograma. Dez doentes tinham extensão maior ou igual a 10 cm, 9 5-10 cm, e um <5 cm. A histologia de 16 doentes era de alto grau e 4 de grau intermédio. Quatro doentes apresentavam metástases ao diagnóstico e três durante o seguimento (passados 3-6 anos). O protocolo seguido foi o EURAMOS. Treze doentes colocaram prótese e seis tiveram complicações da cirurgia. Dos doentes que realizaram quimioterapia+cirurgia, 9 apresentavam 90% ou mais de necrose da peça, 8 <90% 3 doentes faleceram e um está sob cuidados paliativos. Nove doentes apresentaram intercorrências do foro ortopédico, 6 toxicidade grave pós-quimioterapia e 1 TVP.

4 Conclusiones/ Conclusões

Os dados encontrados coincidem com estudos prévios. Os doentes apresentavam sintomatologia semelhante, com diferentes tempos de evolução. As autoras sublinham a importância do diagnóstico desta patologia, que apesar de rara, exige tratamento atempado.

Geralmente os doentes recorrem repetidamente a serviços de saúde, devendo os médicos estar alerta aos sinais de suspeição.



SEHOP
SOCIEDAD ESPAÑOLA
DE HEMATOLOGÍA Y ONCOLOGÍA
PEDIÁTRICAS

1^{ER} CONGRESO IBÉRICO DE HEMATOLOGIA Y ONCOLOGIA PEDIATRICAS

virtual

21 Y 23 SEPT 2021
28 Y 30 SEPT

C0280 FUSIÓN DE NTRK EN TUMOR GLIAL DE DIAGNÓSTICO HISTOLÓGICO INCIERTO. RELEVANCIA DEL DIAGNÓSTICO MOLECULAR

Cristina Nova Lozano, Ara Alméjida Muñoz (Unidad OncoHematología Pediátrica. Servicio Pediatría. Hospital Clínico Universitario Valencia), Raquel Olivas Mazon (Unidad OncoHematología Pediátrica. Servicio Pediatría. Hospital Clínico Universitario Valencia), Alba Peretó Moll (Unidad OncoHematología Pediátrica. Servicio Pediatría. Hospital Clínico Universitario Valencia), Diego Tabares (Servicio Neurocirugía. Hospital Clínico Universitario Valencia), Jaime Agustí (Servicio Anatomía Patológica. Hospital Clínico Universitario Valencia), Jose Luis León (Unidad Resonancia Magnética. ERESA. Hospital Clínico Universitario Valencia), Jaime Verdú Amorós (Unidad OncoHematología Pediátrica. Servicio Pediatría. Hospital Clínico Universitario Valencia)

1 Objetivos/ Metas

Descripción de evolución inesperada de un tumor SNC de bajo grado

2 Material y Métodos/ Material e métodos

Descripción de un caso clínico

3 Resultados

Niño de 11 años consulta en Urgencias por diplopía de 4 días de evolución, acompañado de cefalea a nivel frontal bilateral, intermitente. Se realiza RM cerebral objetivándose tumoración intraventricular izquierda de apariencia quística, que ocasiona efecto masa bilateral produciendo ventriculomegalia.

Se realiza tumorectomía con resección macroscópica completa. El diagnóstico anatomopatológico es Astrocitoma pilocítico, grado I OMS 2016, expresando fusión QKI-NTRK2 (panel *Oncomine Childhood Cancer Research Assay*) sin otras alteraciones moleculares.

Se establece un plan de seguimiento basado el glioma de bajo grado. 6 meses tras el diagnóstico inicial se objetiva lesión nodular en asta frontal izquierda sugerente de recidiva locoregional. Ante este comportamiento atípico para un tumor de bajo grado se realiza una revisión centralizada del diagnóstico histológico inicial, que orienta a un tumor glioneuronal mixoide, entidad recientemente incluida en la *2021 WHO Classification*, definido molecularmente por mutación en gen PDGFRA.

Se interviene quirúrgicamente, alcanzando un grado de resección R2. Las características histológicas son superponibles a las iniciales, y el diagnóstico molecular muestra nuevamente la fusión en QKI-NTRK2 presente. Se descarta la mutación en gen PDGFRA, y por tanto el diagnóstico alternativo de tumor glioneuronal mixoide.

A las 6 semanas post-cirugía se realiza RM que confirma resto tumoral en lecho quirúrgico y la aparición de lesiones metastásicas en asta temporal izquierda y focos puntiformes en cisterna cuadrigémina.

Ante el comportamiento agresivo del tumor con fusión en NTRK, se decide iniciar tratamiento con inhibidor de NTRK (Entrectinib) en contexto de Ensayo Clínico (NCT 02650401)

4 Conclusiones/ Conclusões

Los avances en el campo de la biología molecular y los paneles de secuenciación masiva permiten detectar alteraciones moleculares que puedan orientar a un tratamiento con terapia dirigida. Tradicionalmente, las terapias dirigidas se han desarrollado individualmente según el tipo histológico del tumor. Sin embargo, los ensayos *basket* han mostrado que la respuesta de algunos de estos inhibidores puede ser independiente de la histología. En nuestro paciente, la existencia de la fusión de NTRK como probable evento oncogénico en el contexto de una entidad no bien definida permitió su acceso a un ensayo clínico con Entrectinib



SEHOP
SOCIEDAD ESPAÑOLA
DE HEMATOLOGÍA Y ONCOLOGÍA
PEDIÁTRICAS

1^{ER} CONGRESO IBÉRICO DE HEMATOLOGIA Y ONCOLOGIA PEDIATRICAS

virtual

21 Y 23 SEPT 2021
28 Y 30 SEPT

C0281 EVALUACIÓN A LARGO PLAZO DEL RIESGO CARDIOVASCULAR EN SUPERVIVIENTES DE LEUCEMIA INFANTIL

Aranzazu López Martínez, Vanessa Moya Dionisio (Pediatria, CS Ciudad Naranco, Oviedo, Asturias, España), Carmen Elena González Alvarez (Pediatria, CS Lugones, Oviedo, Asturias), Noelia García González (Pediatria, Hospital Universitario Central de Asturias (HUCA), Oviedo, Asturias, España), Laura Mantecón Fernández (Pediatria, Hospital Universitario Central de Asturias (HUCA), Oviedo, Asturias, España), Joud Zanabli Al-Sibai (Hematología, Hospital Universitario Central de Asturias (HUCA), Oviedo, Asturias, España), Ana de Lucio Delgado (Pediatria, Hospital Universitario Central de Asturias (HUCA), Oviedo, Asturias, España)

1 Objetivos/ Metas

Haber superado una leucemia supone un incremento en el riesgo cardiovascular a largo plazo, ya que a los hábitos de vida se suman las secuelas de los quimioterápicos a distintos niveles (orgánicos, metabólicos, microbiota...) . El objetivo de este estudio es evaluar el riesgo cardiovascular a largo plazo en estos pacientes

2 Material y Métodos/ Material e métodos

Estudio retrospectivo de supervivientes de leucemia en edad infantil.

Para la obtención de sujetos a estudio se ha revisado el histórico de pacientes, desde 2001, en hospital de tercer nivel, con diagnóstico de leucemia antes de los 14 años.

Se seleccionaron aquellos supervivientes en los que hubieran pasado al menos dos años desde su tratamiento. Como criterios de exclusión se postularon el rechazo del consentimiento informado y la presencia de condicionantes o problemas (bien previos a la enfermedad, o derivados de la misma) en los sistemas renal, hepático o cardiocirculatorio que pudieran aumentar el riesgo cardiovascular.

Se realizó estudio somatométrico, analítico, bioimpedancia y ecografía miointimal carotídea, así como encuesta de hábitos alimenticios y deportivos.

3 Resultados

En el registro constaban un total de 82 niños con diagnóstico de leucemia aguda, con edades comprendidas entre 6 y 16 años. De esta muestra únicamente 22 cumplieron criterios para poder ser evaluados.

Con los datos obtenidos se realizó un análisis descriptivo proporcionando distribuciones de frecuencias relativas y absolutas para variables cualitativas, y medidas de posición y dispersión para las cuantitativas.

Entre los resultados destacan que el 32% de la muestra cumplía criterios de sobrepeso-obesidad, y casi el 40% presentaba índices de resistencia insulínica elevados. Se encontraron niveles medios de vitamina D en rangos deficitarios, así como niveles de homocisteína y citoquinas alterados. Sólo la mitad de la muestra referían hábitos de vida saludables.

4 Conclusiones/ Conclusões

Los pacientes supervivientes de leucemia en la edad infantil tienen un riesgo cardiovascular elevado, caracterizado por un aumento de la resistencia insulínica, no asociado a aumento de masa grasa ni a afectación carotídea. Este riesgo podría justificar la implementación de medidas preventivas en estos pacientes.



SEHOP
SOCIEDAD ESPAÑOLA
DE HEMATOLOGÍA Y ONCOLOGÍA
PEDIÁTRICAS

1^{ER} CONGRESSO IBÉRICO DE HEMATOLOGIA Y E ONCOLOGIA PEDIÁTRICAS

virtual

21 Y 23 SET
28 Y 30 SET 2021

C0286 ISQUÉMIA AGUDA DO MEMBRO INFERIOR - APRESENTAÇÃO DE SÍNDROME DE ANTICORPOS ANTIFOSFOLÍPIDOS EM PEDIATRIA

Ana Dias Curado, Carolina Amaro Gonçalves (Serviço de Pediatria, Departamento de Pediatria, Hospital de Santa Maria, Centro Hospitalar Universitário Lisboa Norte), Filipa Afonso Ferreira (Serviço de Pediatria, Departamento de Pediatria, Hospital de Santa Maria, Centro Hospitalar Universitário Lisboa Norte), Catarina Salgado (Unidade de Hematologia Pediátrica, Serviço de Pediatria Médica, Departamento de Pediatria, Hospital de Santa Maria, Centro Hospitalar Universitário Lisboa Norte), Maria João Palaré (Unidade de Hematologia Pediátrica, Serviço de Pediatria Médica, Departamento de Pediatria, Hospital de Santa Maria, Centro Hospitalar Universitário Lisboa Norte), Filipa Oliveira Ramos (Unidade de Reumatologia Pediátrica, Hospital de Santa Maria, Centro Hospitalar Universitário Lisboa Norte), Anabela Ferrão (Unidade de Hematologia Pediátrica, Serviço de Pediatria Médica, Departamento de Pediatria, Hospital de Santa Maria, Centro Hospitalar Universitário Lisboa Norte)

1 Objetivos/ Metas

2 Material y Métodos/ Material e métodos

3 Resultados

Introdução: A síndrome de anticorpos antifosfolípidos (SAAF) é uma doença autoimune multissistémica caracterizada por risco aumentado de eventos trombóticos na presença de anticorpos antifosfolípidos persistentemente positivos. A sua etiologia pode ser primária ou secundária a outras doenças imunomediadas, como o lúpus eritematoso sistémico (LES).

Descrição do caso: Criança de 7 anos, género feminino, previamente saudável, com história familiar de LES do pai e psoríase da mãe e avô materno, admitida por claudicação da marcha, dor e diminuição da temperatura do pé direito com três dias de evolução e agravamento progressivo. Apresentava eritema malar, palidez e arrefecimento do pé e perna direitos, cianose do 1º dedo do pé direito e da região plantar distal, associados a ausência de pulsos poplíteo e distais, sem défices motoro-sensitivos. Negava história de traumatismo ou outros sintomas. Antecedentes de lesões cutâneas recorrentes e gastroenterite aguda na semana prévia ao internamento autolimitada com medidas sintomáticas. Realizou ecodoppler dos membros inferiores (MIs) com evidência de oclusão da artéria poplíteia direita. Pelo diagnóstico de isquémia aguda do MI, iniciou anticoagulação com enoxaparina em dose terapêutica. A avaliação cardiológica não evidenciou trombos intracardíacos nem alterações estruturais. Realizou angiotomografia toraco-abdomino-pélvica e dos MIs que confirmou oclusão da artéria poplíteia direita, com trombo totalmente oclusivo numa extensão longitudinal de 3 cm, sem alterações nos restantes segmentos e sem sinais de sinais de circulação colateral arterial. Da avaliação analítica destacava-se anticoagulante lú?pico, anticardiolipina (IgG e IgM) e anti-beta-2 glicoproteína (IgG e IgM) positivos; anticorpos anti-nucleares (1/160) e anti DNA de dupla cadeia (45,5 UI/mL) positivos; ligeiro consumo de C4 (11 mg/dL) com C3 e CH50 normais; teste de Coombs direto positivo (IgG e C3d); prolongamento do tempo de tromboplastina parcial ativada (60s/29s). O restante estudo protrombótico não revelou alterações. A observação oftalmológica não evidenciou envolvimento ocular inflamatório, nem se verificou envolvimento de outros órgãos e sistemas, nomeadamente hematológico, renal, neurológico. Pela SAAF iniciou terapêutica com hidroxiquina, ácido acetilsalicílico e varfarina com suspensão posterior da enoxaparina. Verificou-se boa evolução clínica com resolução das queixas álgicas e da claudicação, com evidência de sinais de revascularização da artéria poplíteia em doppler de controlo.

4 Conclusiones/ Conclusões

Conclusão: A SAAF é uma entidade rara em pediatria com um espectro clínico vasto, tornando-se um desafio diagnóstico e terapêutico pelo reduzido número de estudos pediátricos. Sendo a trombose venosa a manifestação trombótica mais frequente, alertamos para a trombose arterial dos MIs como possível apresentação da SAAF, neste caso, secundário a LES.



SEHOP
SOCIEDAD ESPAÑOLA
DE HEMATOLOGÍA Y ONCOLOGÍA
PEDIÁTRICAS

SOCIEDADE DE HEMATOLOGIA
E ONCOLOGIA PEDIATRICA
DA SOCIEDADE PORTUGUESA DE PEDIATRIA

1^{ER} CONGRESSO IBÉRICO DE HEMATOLOGIA Y E ONCOLOGIA PEDIATRICAS

virtual

21 Y 23 SEPT 2021
28 Y 30 SEPT

C0288 WHEN THE CORRECTION MACHINERY DOES NOT WORK: AN ADOLESCENT WITH COLON ADENOCARCINOMA

Inês Romão Luz, Mónica Jerónimo (Pediatric Oncology Service, Hospital Pediátrico, Centro Hospitalar e Universitário de Coimbra, Coimbra, Portugal), Sónia Santos (Pediatric Service, Unidade Local de Saúde da Guarda, Guarda, Portugal), Sofia Maia (Medical Genetics Unit, Hospital Pediátrico, Centro Hospitalar e Universitário de Coimbra; University Clinic of Genetics, Faculty of Medicine, University of Coimbra, Coimbra, Portugal), Manuel Brito (Pediatric Oncology Service, Hospital Pediátrico, Centro Hospitalar e Universitário de Coimbra, Coimbra, Portugal)

1 Objetivos/ Metas

To disclose the clinical pathway and diagnosis of a 17-year-old female patient, whom presented with chronic anemia and abdominal pain.

2 Material y Métodos/ Material e métodos

For one year and a half, the adolescent had iron deficiency anemia, with no response to supplementation. Celiac disease was excluded, and the hypothesis of an inflammatory bowel disease was considered (she had thrombocytosis and a slightly elevated calprotectin in feces). Two months before the evaluation at the Pediatric Oncology, she started complaining of abdominal pain, at the right quadrants, conditioning nocturnal awake. As the abdominal pain became worse, with objectivation of weight loss, imagiological evaluation was performed, revealing a circumferential mass at the ascendant colon, with mesenteric lymphadenopathies.

3 Resultados

The patient was transferred to the Pediatric Oncology Service, with the hypothesis of lymphoma. She underwent a TC-guided biopsy and the first results, by immunophenotyping, did not support this diagnosis. An endoscopic evaluation of the lower and upper gastrointestinal tract was performed, showing an abnormal colon mucosa within an extension of 15 cm, with pseudopolyps and ulcerations. Afterwards, histology made the diagnosis of a mucinous colorectal adenocarcinoma. She underwent surgery, a hemicolectomy, with peritonectomy and lymphadenectomy, staging pT4a N1b M1c. She started chemotherapy with mFolfox VI [leucovorin calcium (folinic acid), fluorouracil, and oxaliplatin]. At the Medical Genetics Unit, a colon cancer NGS panel was requested and two germline PMS2 gene variants were identified. Both variants are reported in ClinVar and one is classified as pathogenic and the other likely pathogenic. Family studies confirmed that the variants are in trans, thus, establishing the diagnosis of constitutional mismatch repair deficiency syndrome (CMMRD).

4 Conclusiones/ Conclusões

When looking at an adolescent, adult red flags for colon carcinoma must be taken into consideration. With this diagnosis it is imperative a prompt evaluation by a Medical Genetics team, to accelerate syndrome diagnosis and, therefore, to allow therapeutic adjustments and tailored follow-up of the patient and relatives. The hallmark of CMMRD is early onset cancer and gastrointestinal malignancies are the second most common ones, after brain tumors and before hematologic malignancies. Some emerging therapies, namely neoantigen based vaccines and immune checkpoint inhibitors, are gathering evidence of clinical efficacy.



SEHOP
SOCIEDAD ESPAÑOLA
DE HEMATOLOGÍA Y ONCOLOGÍA
PEDIÁTRICAS

SOCIEDADE DE HEMATOLOGIA
E ONCOLOGIA PEDIATRICA
DA SOCIEDADE PORTUGUESA DE PEDIATRIA

1^{ER} CONGRESO IBÉRICO DE HEMATOLOGIA Y ONCOLOGIA PEDIATRICAS

virtual

21 Y 23 SEPT 2021
28 Y 30 SEPT

C0290 NEUTROPENIA EN LACTANTE DE ORIGEN CENTRAL

Alicia Pablos López, Beatriz María Martín López-Pardo (Hospital Universitario de Salamanca), María del Carmen Mendoza Sánchez (Hospital Universitario de Salamanca), Almudena González Prieto (Hospital Universitario de Salamanca), Susana Riesco Riesco (Hospital Universitario de Salamanca)

1 Objetivos/ Metas

La disqueratosis congénita es una enfermedad hereditaria con afectación multisistémica que se caracteriza por la triada de distrofia ungueal, hiperpigmentación cutánea reticulada y leucoplaquia oral, asociada a pancitopenia y aplasia medular.

Se transmite por un patrón de herencia recesivo ligado al cromosoma X, por lo que predomina en el sexo masculino. Está producida por una mutación en la disquerina, proteína que participa en la biosíntesis del ARN ribosomal, produciendo un acortamiento telomérico progresivo. El pronóstico de la enfermedad viene determinado por la insuficiencia medular, por las complicaciones pulmonares y por la aparición de tumores malignos.

El objetivo de nuestro estudio es describir las características clínico-analíticas de dos pacientes diagnosticados de disqueratosis congénita en nuestro hospital.

2 Material y Métodos/ Material e métodos

Revisión de las historias clínicas de dos pacientes diagnosticados de disqueratosis congénita en el Complejo Asistencial Universitario de Salamanca.

3 Resultados

Presentamos los casos de dos hermanos gemelos de tres años con diagnóstico de disqueratosis congénita. El primero de ellos se encontraba en seguimiento en consulta de Hematología Infantil por neutropenia moderada desde el mes de vida. Tras negatividad de las pruebas complementarias de primer nivel, se solicita estudio genético, en el que se describe una mutación heterocigota en el gen ACD, asociado a disqueratosis congénita. Se determina la longitud de los telómeros, encontrándose acortada (por debajo del percentil 1) y se completa estudio familiar, describiéndose la misma mutación y el acortamiento telomérico en su hermano gemelo, padre y abuela paterna, todos ellos asintomáticos. Ambos hermanos se encuentran en seguimiento clínico, sin haber presentado sintomatología asociada a neutropenia. El hermano gemelo del caso índice, ha desarrollado eczemas numulares y dermatitis atópica como única afectación cutánea, sin asociar alteraciones hematológicas ni a otro nivel.

4 Conclusiones/ Conclusões

La disqueratosis congénita es una enfermedad rara que produce alteraciones mucocutáneas y disfunción de médula ósea. En familias con disqueratosis congénita, se ha descrito el fenómeno de anticipación génica, de forma que, con el paso de sucesivas generaciones, la clínica puede ser más severa y de inicio más temprano, debido a un acortamiento telomérico progresivo.

El fallo medular condiciona el pronóstico de la enfermedad, por lo que el único tratamiento curativo, en los casos en los que esto ocurre, es el trasplante de progenitores hematopoyéticos, siendo el donante de elección un hermano HLA idéntico.



SEHOP
SOCIEDAD ESPAÑOLA
DE HEMATOLOGÍA Y ONCOLOGÍA
PEDIÁTRICAS

1^{ER} CONGRESO IBÉRICO DE HEMATOLOGIA Y ONCOLOGIA PEDIATRICAS

virtual

21 Y 23 SEPT 2021
28 Y 30 SEPT

C0292 TROMBOCITOPENIA CENTRAL ASOCIADA A MUTACIÓN EN HOMOCIGOSIS DE ERCC6L2

Beatriz María Martín López-Pardo, Alicia Pablos López (Hospital Universitario de Salamanca, , Salamanca, España), Susana Riesco Riesco (Hospital Universitario de Salamanca), María del Carmen Mendoza Sánchez (Hospital Universitario de Salamanca), Almudena González Prieto (Hospital Universitario de Salamanca)

1 Objetivos/ Metas

La trombocitopenia en la infancia es un hallazgo frecuente y muchas veces casual. Su presencia debe obligarnos a hacer un despistaje entre un origen central o periférico, este último más habitual en la infancia. El objetivo de nuestro trabajo es describir las características clínicas, analíticas, evolución y proceso diagnóstico de un paciente con trombocitopenia derivado a la consulta de Hematología Infantil.

2 Material y Métodos/ Material e métodos

Se revisó la historia clínica, pruebas complementarias y evolución de un paciente diagnosticado de trombocitopenia central asociada a mutación en homocigosis de ERCC6L2, así como los hallazgos bibliográficos asociados a la misma en la literatura.

3 Resultados

Se presenta el caso de un varón de 18 años con antecedente de trombocitopenia, enfermedad celiaca e hipotirodismo autoinmune. En seguimiento en consulta con cifras de plaquetas estables desde el diagnóstico (50.000-60.000/mcl), con neutropenia puntual hasta 870/mcl y sin alteraciones en la serie roja. Ha permanecido asintomático sin clínica de sangrados, con adecuado desarrollo neurológico, sin infecciones de repetición, osteoarticular o cutánea.

Se habían realizado estudios de médula ósea, citometría de flujo, estudio de fragilidad cromosómica, de inmunidad con positividad para anticuerpos antiplaquetarios y antineutrófilo, estudio genético para disqueratosis congénita y Blackfan-Diamond, así como panel de secuenciación masiva para diátesis hemorrágica sin presentar alteraciones y con cifras de hemoglobina fetal elevadas. En estudio de biopsia de médula ósea se visualizan datos de hipocelularidad, junto con rasgos displásicos. Se solicitó estudio genético con panel NGS de fallos medulares congénitos en el que se detectó la mutación en homocigosis en el gen ERCC6L2.

4 Conclusiones/ Conclusões

La mutación en homocigosis para el gen ERCC6L2 ha sido recientemente descrita con fallo medular congénito y síndrome mielodisplásicos. Si bien su espectro clínico está por conocer, la trombocitopenia es la manifestación hematológica más frecuentemente descrita. En los casos en los que se confirme esta mutación, es necesario el seguimiento por el riesgo de progresión a mielodisplasia.



SEHOP
SOCIEDAD ESPAÑOLA
DE HEMATOLOGÍA Y ONCOLOGÍA
PEDIÁTRICAS

SOCIEDADE DE HEMATOLOGIA
E ONCOLOGIA PEDIATRICA
DA SOCIEDADE PORTUGUESA DE PEDIATRIA

1^{ER} CONGRESSO IBÉRICO DE HEMATOLOGIA Y E ONCOLOGIA PEDIATRICAS

virtual

21 Y 23 SET
28 Y 30 SET
2021

C0293 PANCITOPÉNIA E HIPERLACTACIDÉMIA NA INFÂNCIA. A RESPOSTA ESTÁ NA MITOCÔNDRIA.

Dr.ª Sara Dias , Dr.ª Patrícia Silva (Unidade de Doenças Metabólicas - Serviço de Pediatria, Hospital Dona Estefânia, Lisboa, Portugal), Dr.ª Ana Cristina Ferreira (Unidade de Doenças Metabólicas - Serviço de Pediatria, Hospital Dona Estefânia, Lisboa, Portugal), Dr.ª Marisa Oliveira (Unidade de Hematologia Pediátrica - Serviço de Pediatria, Hospital Dona Estefânia, Lisboa, Portugal), Dr.ª Sara Batalha (Unidade de Hematologia Pediátrica - Serviço de Pediatria, Hospital Dona Estefânia, Lisboa, Portugal), Dr.ª Paula Kjölleström (Unidade de Hematologia Pediátrica - Serviço de Pediatria, Hospital Dona Estefânia, Lisboa, Portugal)

1 Objetivos/ Metas

A síndrome de Pearson (SP) é uma síndrome de deleção do DNA mitocondrial que se manifesta no primeiro ano de vida com citopénias, particularmente anemia hiporregenerativa. No decorrer da doença podem surgir outras manifestações tais como insuficiência pancreática exócrina, atraso de crescimento, hipotonia, tubulopatia, endocrinopatias, diarreia refratária e descompensações metabólicas com hiperlactacidémia. A SP é frequentemente fatal na infância, sendo possível a recuperação espontânea da disfunção medular e transição para a síndrome de Kearns-Sayre.

2 Material y Métodos/ Material e métodos

3 Resultados

Apresentamos os casos de duas crianças diagnosticadas recentemente.

Caso 1: menino de 11 meses, com má progressão estatura-ponderal, infeções recorrentes e hiperlactacidémia persistente, referenciado por anemia macrocítica, neutropenia e trombocitopenia intermitente. O mielograma revelou sideroblastos em anel e vacuolização de precursores. Laboratorialmente apresentava diminuição da elastase fecal, aumento da alanina plasmática e ácidos orgânicos sugestivos de disfunção mitocondrial. A pesquisa de deleções do DNA mitocondrial no sangue confirmou o diagnóstico. Durante o 2.º e 3.º ano de vida foi internado múltiplas vezes por infeções graves e desequilíbrio metabólico e hidroeletrólítico. Tem evoluído favoravelmente do ponto de vista psicomotor, mantendo contudo um atraso ligeiro. Actualmente, mantém neutropenia e anemia, com necessidade transfusional esporádica.

Caso 2: menina de 15 meses, com má progressão ponderal e dificuldades alimentares desde o nascimento, observada por cansaço e anorexia, apresentando palidez cutânea; sem dismorfias ou hepato-esplenomegalia. A avaliação analítica revelou pancitopenia com macrocitose, com necessidade de suporte transfusional. Foram excluídas causas infecciosas e neoplásicas. Verificou-se hiperlactacidémia e diminuição da elastase fecal. A revisão do mielograma foi compatível com o diagnóstico de SP, confirmado por estudo do DNA mitocondrial. À data, com dois anos, mantém anemia com necessidade transfusional regular, neutropenia e trombocitopenia moderadas. Apresenta adequado desenvolvimento psicomotor e uma melhoria progressiva das dificuldades alimentares.

4 Conclusiones/ Conclusões

O SP engloba um espectro alargado de manifestações hematológicas e não hematológicas, implicando um elevado nível de suspeição que permita um diagnóstico precoce e consequente acompanhamento multidisciplinar e terapêutica de suporte, que permitem melhorar o prognóstico.

Dado o prognóstico reservado, a evolução variável e a ausência de terapêutica dirigida, é fundamental a investigação de novas armas terapêuticas que possam alterar a história natural da doença.



SEHOP
SOCIEDAD ESPAÑOLA
DE HEMATOLOGÍA Y ONCOLOGÍA
PEDIÁTRICAS

SOCIEDADE DE HEMATOLOGIA
E ONCOLOGIA PEDIATRICA
DA SOCIEDADE PORTUGUESA DE PEDIATRIA

1^{ER} CONGRESO IBÉRICO DE HEMATOLOGIA Y ONCOLOGIA PEDIATRICAS

virtual

21 Y 23 SEPT 2021
28 Y 30 SEPT

C0302 DARATUMUMAB EN UN PACIENTE PEDIÁTRICO CON ANEMIA HEMOLÍTICA AUTOINMUNE REFRACTARIA

Adriana Devolder Nicolau, Laia Garcia Marzo (Hospital de la Santa Creu i Sant Pau, Barcelona, España), María Trabazo del Castillo (Hospital de la Santa Creu i Sant Pau, Barcelona, España), Montserrat Torrent Español (Hospital de la Santa Creu i Sant Pau, Barcelona, España), Edurne Fernandez de Gamarra (Hospital de la Santa Creu i Sant Pau, Barcelona, España), Isabel Badell Serra (Hospital de la Santa Creu i Sant Pau, Barcelona, España)

1 Objetivos/ Metas

La anemia hemolítica autoinmune (AHAI) es debida a la destrucción intravascular de hematíes por autoanticuerpos y/o el sistema del complemento. Puede presentarse aislada o secundaria a otras patologías. Su incidencia es de 0,8 casos por 100.000 niños/año. Su curso clínico es variable: de formas leves a refractarias que requieren varias líneas de tratamiento.

El tratamiento se ha basado clásicamente en: corticoides, inmunoglobulinas, inmunosupresores, esplenectomía o anticuerpo monoclonal anti-CD20 (rituximab). Recientemente se han publicado casos en que el uso de Daratumumab, anticuerpo monoclonal anti-CD38, ha sido efectivo en pacientes refractarios a otros tratamientos.

Presentamos uno de los primeros casos pediátricos con AHAI refractaria tratada con Daratumumab.

2 Material y Métodos/ Material e métodos

Lactante de sexo femenino y 7 meses de edad que consulta por colúria, ictericia, hemoglobina de 7 g/dL, signos analíticos de hemólisis intravascular y Coombs Directo positivo por IgG y anti-C3b, diagnosticándose de AHAI caliente. El estudio etiológico fue negativo, catalogándose de AHAI idiopática.

Inició tratamiento con corticoides hasta 3mg/kg/día, con escasa respuesta. Recibió inmunoglobulinas endovenosas con mejoría de la hemólisis pero persistencia de anemia grave requiriendo soporte transfusional.

A los 18 días se añade Rituximab (375mg/m² semanal, 4 dosis) con respuesta transitoria permitiendo disminuir corticoterapia a 2mg/kg/día. A los 3 meses presenta descenso de Hb a 6g/dL: se administra nueva dosis de inmunoglobulinas y dos de Rituximab.

Tras 4 meses persiste importante hemólisis que aún requiere transfusiones: se inicia Daratumumab semanal, consiguiendo mantener Hb estables entre 8 - 14 g/dL y descender los corticoides a 1,4mg/kg/día.

3 Resultados

El 80% de AHAI responden a la primera línea de tratamiento: corticoides 1mg/kg/día. En el otro 20% la asociación de Rituximab consigue 70-80% de respuesta, pero con alto índice de recidivas. En estos pacientes las opciones terapéuticas hasta ahora eran: inmunosupresores, esplenectomía y alo-TPH.

Recientemente se han publicado casos y series de pacientes con AHAI refractaria respondedores al Daratumumab. Este fármaco actúa contra las células plasmáticas (CD20-, CD38+) derivadas de las células B, que mantienen la producción de anticuerpos en las etapas tardías de la inmunidad. Se cree que estas células escapan del efecto del rituximab y inmunosupresores convencionales, pudiendo ser responsables de las recidivas y las respuestas insuficientes.

4 Conclusiones/ Conclusões

El Daratumumab podría ser una alternativa eficaz en aquellos pacientes refractarios a distintas líneas terapéuticas. Se desconocen los efectos secundarios y la respuesta a largo plazo, pero de momento no ha habido efectos secundarios significativos. Son necesarios más estudios pediátricos para identificar qué pacientes se beneficiarían de este tratamiento.



SEHOP
SOCIEDAD ESPAÑOLA
DE HEMATOLOGÍA Y ONCOLOGÍA
PEDIÁTRICAS

1^{ER} CONGRESO IBÉRICO DE HEMATOLOGÍA Y ONCOLOGÍA PEDIÁTRICAS

virtual

21 Y 23 SEPT 2021
28 Y 30 SEPT

C0303 DESCRIPCIÓN DE UNA COHORTE DE SUPERVIVIENTES DE LEUCEMIA LINFOBLÁSTICA AGUDA

M^a Teresa Tormo Alcañiz, Julia Balaguer Guill (Oncología Infantil, Hospital La Fe, Valencia, España), Jose María Fernández Navarro (Oncología Infantil, Hospital La Fe, Valencia, España), Pablo Gargallo Tatay (Oncología Infantil, Instituto de Investigación Sanitaria La Fe Valencia, España. Departamento de Oncología, Imegen- health in code group, Paterna, España), Carolina Fuentes Socorro (Oncología Infantil, Hospital La Fe, Valencia, España), Antonio Juan Ribelles (Oncología Infantil, Hospital La Fe, Valencia, España), M^a del Mar Andrés Moreno (Oncología Infantil, Hospital La Fe, Valencia, España), Adela Cañete Nieto (Oncología Infantil, Hospital La Fe, Valencia, España)

1 Objetivos/ Metas

Describir la situación de salud actual de una cohorte de supervivientes de leucemia linfoblástica aguda (LLA) y el seguimiento a largo plazo realizado.

2 Material y Métodos/ Material e métodos

Revisión de la historia oncológica y del seguimiento actual de pacientes con antecedente de LLA, de más de 14 años, que finalizaron el tratamiento hace más de 5 años o más y que aceptaron a participar en el estudio durante el periodo de junio 2020 a marzo de 2021.

3 Resultados

Accedieron a participar 60 supervivientes, 29 hombres y 31 mujeres con una edad media de 20 años. Respecto a su historia oncológica: el tipo de leucemia predominante fue la B con una n=42, preB = 10, proB = 2 y T =6. La fecha media de diagnóstico: 28/02/2005 aplicándose los protocolos acordes al momento del diagnóstico. 15 pacientes precisaron TPH (17 episodios) durante el tratamiento de primera línea o en una recaída. Estos fueron 9 autólogos, 5 emparentados idénticos, 2 no emparentados idénticos y 1 haploidéntico. 14 recibieron radioterapia, la mayoría fue irradiación corporal total como acondicionamiento al trasplante. Hubo 2 cirugías por afectación testicular que requirieron orquiectomía. 5 tuvieron recaída en la primera línea de tratamiento y otras 5 posteriormente.

En cuanto al seguimiento a largo plazo, a nivel cardiológico, 4 supervivientes presentan alteraciones en el ecocardiograma sin repercusión clínica, 12 no llevan seguimiento habitual o están pendientes los resultados y el resto presentan pruebas normales. La dosis isotóxica media de antraciclinas fue de 103,75 mg/m².

A nivel respiratorio, 14 precisan seguimiento de los cuales la mitad presenta alteraciones en las pruebas respiratorias.

Y aunque todos precisan seguimiento por haber recibido al menos 4 semanas de corticoterapia, sólo 9 realizan un seguimiento oftalmológico de forma habitual encontrando 3 que presentan ojo seco y 3 que presentan cataratas.

4 Conclusiones/ Conclusões

Siendo la LLA el diagnóstico más frecuente de cáncer infantil creemos que es importante informar, tanto a nuestros supervivientes como a todos los profesionales implicados, del seguimiento a largo plazo que se debe realizar y de las posibles complicaciones que pueden surgir a lo largo de su vida.



SEHOP
SOCIEDAD ESPAÑOLA
DE HEMATOLOGÍA Y ONCOLOGÍA
PEDIÁTRICAS

1^{ER} CONGRESO IBÉRICO DE HEMATOLOGIA Y ONCOLOGIA PEDIATRICAS

virtual

21 Y 23 SEPT 2021
28 Y 30 SEPT

C0311 SÍNDROME DE HORNER PEDIÁTRICO. A PROPÓSITO DE UNA SERIE DE 14 CASOS EN UN HOSPITAL TERCIARIO.

María Rosario Pérez-Torres Lobato, Juan de las Morenas Iglesias (Servicio de Oftalmología, Hospital Virgen del Rocío. Sevilla, España), Mercedes-Livia Llampen López (Servicio de Oncología pediátrica. Hospital Virgen del Rocío. Sevilla, España.), Pablo Gómez-Millán Ruiz (Servicio de Radiología, Hospital Virgen del Rocío. Sevilla, España.), Catalina Márquez Vega (Servicio de Oncología pediátrica. Hospital Virgen del Rocío. Sevilla, España.), Cristóbal Coronel Rodríguez (Centro de Salud Amante Laffón, Sevilla, España), Begoña Balboa Huguet (Servicio de Oftalmología, pediátrica. Hospital Virgen del Rocío. Sevilla España.), Jose Luis Sánchez Vicente (Servicio de Oftalmología, Hospital Virgen del Rocío. Sevilla España)

1 Objetivos/ Metas

El síndrome de Horner (SH) se caracteriza por la triada de ptosis palpebral, miosis y anhidrosis facial. Debido a su amplia variedad de causas puede ocurrir en cualquier edad, siendo infrecuente en pediatría. La etiología y estudio diagnóstico del SH pediátrico (SHP) es motivo de controversia.

El objetivo de este trabajo es describir las características clínicas de una serie de 14 niños diagnosticados de SH, incidiendo en la etiología del SH y en la evolución clínica que presentaron.

2 Material y Métodos/ Material e métodos

Estudio observacional retrospectivo de pacientes menores de 14 años diagnosticados de SHP en nuestro centro entre el 01/01/2000 y el 30/04/2020. En función de la edad al diagnóstico, los casos se dividieron en congénitos (antes de los 5 meses) y adquiridos.

3 Resultados

Se reclutaron 14 pacientes, con una mediana de edad al diagnóstico de 8.5 meses. La causa más frecuente de SHP fue tumoral (6/14), siendo la neoplasia más representativa el neuroblastoma (4/14). De los casos adquiridos (8/14), la causa más frecuente fue iatrogénica (5/8), secundario a cirugía cérvico-torácica. La etiología principal del SH congénito (6/14) fue el neuroblastoma (4/6), siendo la primera manifestación clínica de la enfermedad en el 50% de los pacientes (2/4).

4 Conclusiones/ Conclusões

El SH puede ser el primer signo de una enfermedad subyacente grave, como es el neuroblastoma. Por este motivo, es necesario realizar un adecuado estudio de extensión en todos los pacientes pediátricos diagnosticados de SH sin una causa clara atribuible. Es fundamental un examen riguroso para un diagnóstico precoz de estos pacientes.



SEHOP
SOCIEDAD ESPAÑOLA
DE HEMATOLOGÍA Y ONCOLOGÍA
PEDIÁTRICAS

1^{ER} CONGRESO IBÉRICO DE HEMATOLOGIA Y E ONCOLOGIA PEDIATRICAS *virtual* 21 Y 23 SEPT 2021 28 Y 30 SEPT

C0316 USE OF THROMBOELASTOMETRY-GUIDED SURGERY IN A PEDIATRIC PATIENT WITH ADRENAL NEUROBLASTOMA COMPLICATED WITH DISSEMINATED INTRAVASCULAR COAGULATION.

María Rosario Pérez-Torres Lobato, María Molina Mata (Department of Pediatric Surgery, Virgen del Rocío Hospital. Seville, Spain.), Mercedes-Livia Llampen López (Department of Pediatric Oncology, Virgen del Rocío Hospital. Seville, Spain.), Israel Fernández Pineda (Department of Pediatric Surgery, Virgen del Rocío Hospital. Seville, Spain.), Rosa María Cabello Laureano (Department of Pediatric Surgery. Head of Department. Virgen del Rocío Hospital. Seville, Spain.), Eloy Rivas Infante (Department of Pathology. Neuropathology Division. Virgen del Rocío Hospital. Seville, Spain), Catalina Márquez Vega (Department of Pediatric Oncology. Head of department. Virgen del Rocío Hospital. Seville, Spain.), Javier Rodríguez Martorell (Department of Hematology. Hemostasis Division. Virgen del Rocío Hospital. Seville, Spain.)

1 Objetivos/ Metas

Disseminated intravascular coagulation (DIC) is a rare oncological emergency. Management of tumor related-DIC may require surgical resection of the primary tumor with an increased risk of uncontrollable bleeding given the ongoing DIC.

2 Material y Métodos/ Material e métodos

We report a pediatric patient with an adrenal neuroblastoma who developed DIC and required ROTEM-guided surgery. We also conduct a review of the current literature on the subject. To our knowledge, this is the first case report on ROTEM-guided therapy in cancer-related DIC.

3 Resultados

A 6-year-old female diagnosed with intermediate risk adrenal neuroblastoma developed tumor-related DIC after chemotherapy first cycle. Supportive therapy with blood component transfusions and low molecular weight heparin prophylaxis was started. However, although she remained hemodynamically stable without clinical bleeding, DIC worsened, and an emergency tumor resection guided by thromboelastometry (ROTEM) was performed. Supportive therapy was intensified with preoperative ROTEM test showing acceptable clotting times and normal maximum clot firmness values. Intraoperative-ROTEM was used to guide hemostatic management, without evidence of coagulopathic bleeding and normal ROTEM values at the end of the surgery. DIC resolved early after tumor resection and complete remission was achieved.

4 Conclusiones/ Conclusões

Treatment of the underlying condition is critical to manage DIC. ROTEM can guide goal-directed therapy, including surgery in pediatric patients. However, larger studies are needed to examine its applicability in different clinical settings, such as cancer related DIC.



SEHOP
SOCIEDADE ESPANHOLA
DE HEMATOLOGIA Y ONCOLOGIA
PEDIÁTRICAS

SOCIEDADE DE HEMATOLOGIA
E ONCOLOGIA PEDIÁTRICA
DA SOCIEDADE PORTUGUESA DE PEDIATRIA

1^{ER} CONGRESSO IBÉRICO DE HEMATOLOGIA Y E ONCOLOGIA PEDIÁTRICAS

virtual

21 Y 23 SET 2021
28 Y 30 SET

C0317 LEUCEMIA DE CÉLULAS BLÁSTICAS DENDRÍTICAS PLASMOCITOIDES: CARACTERÍSTICAS, DIAGNÓSTICO E TRATAMENTO DE 2 CASOS PEDIÁTRICOS.

Jean-Pierre Gonçalves, Ximo Duarte (Pediatra do Serviço de Pediatria do IPO Lisboa Francisco Gentil, Portugal Grupo Português de Leucemias Pediátricas)

1 Objetivos/ Metas

A leucemia de células blásticas dendríticas plasmocitoides (LCBP) é uma doença rara de difícil diagnóstico pela ausência de marcadores específicos. O prognóstico é mais favorável nas crianças. Casos pediátricos publicados são escassos pelo que apresentamos estes casos.

2 Material y Métodos/ Material e métodos

Apresentam-se dois casos clínicos de crianças com LCBP admitidos no IPOLFG.

3 Resultados

Caso 1 – Menina, 4 anos, com 2 meses de evolução de lesões papulares, eritematosas e não pruriginosas no tronco. Poliartralgias persistentes e gonalgia bilateral com recusa da marcha. Fez ciclos de corticosteroides (oral e intra-articular) com melhorias transitórias. Estudo serológico normal. Hemograma com anemia (Hb 10.4g/dL) e neutropenia (Neutrófilos 530/uL).

A biópsia cutânea revelou infiltração nodular da derme e tecido subcutâneo por células CD45+/CD4+/CD56+/CD68+/CD11c+/CD117+/CD15-/MPO-/CD34-/CD20-. A imunofenotipagem de sangue medular revelou 64% de células com fenótipo compatível com células dendríticas (HLA-D4+/CD56+/CD4+/CD117+/CD11c+/CD45+/CD38+/CD123fraco/CD64+).

Iniciou quimioterapia de acordo com protocolo Interfant06 mas em D30 da indução apresentou agravamento clínico por pneumonia e choque séptico a metapneumovírus. Verificou-se o óbito ao 8º dia de internamento na UCIP. A autópsia revelou doença veno-oclusiva pulmonar.

Caso 2 – Menina, 3 anos, 2 meses com tumefação fronto-parieto-occipital direita eritematosa, dura e indolor à palpação. Iniciou febre sem foco há 2 semanas e na última semana palidez e astenia com esplenomegalia. Serologias sem alterações. Hemograma com anemia (Hb 3.5 g/dL), neutropenia (Neutrófilos 600/uL) e trombocitopenia (Plaquetas 58000/uL).

A imunofenotipagem de sangue medular revelou 87.4% de células com fenótipo compatível com células dendríticas:

Positivo: CD33/HLA-Dr/CD56/CD123/CD38/CD4fraco/CD43/CD45fraco

Negativo: MPO/CD34/CD7/cyCD3/CD3/CD5/CD16/CD19/CD79a/CD20/CD10/CD22/TdT/CD15/CD13/CD11b/CD36/CD64/CD117

Iniciou quimioterapia de acordo com protocolo DFC111 - Alto risco. Apresentou remissão no final de indução e completou o tratamento. Atualmente, clinicamente bem com 27 meses pós-final de tratamento.

4 Conclusiones/ Conclusões

A LCBP é uma doença rara existindo poucos casos pediátricos publicados. A pele é local frequente de apresentação da doença. Em raros casos a pele está poupada sendo a apresentação da doença sob a forma de leucemia com infiltração medular extensa.

O diagnóstico definitivo é baseado na histologia com marcação:

- positivo: CD4/CD56/CD123/CD303/TCL-1/TdT e ICSBP/IRF8

- negativo: CD3/MPO/granzima-B/lisozima

O prognóstico é mais favorável nas crianças mas exige referenciação para centro oncológico.

O tratamento é baseado em esquemas de poliquimioterapia usados no tratamento de LLA de alto risco. O transplante medular alogénico está reservado após recaída e obtenção de 2ª remissão.

Estudos prospetivos e centralizados são necessários para melhor conhecimento sobre a doença e a sua melhor abordagem terapêutica.



SEHOP
SOCIEDAD ESPAÑOLA
DE HEMATOLOGÍA Y ONCOLOGÍA
PEDIÁTRICAS

1^{ER} CONGRESO IBÉRICO DE HEMATOLOGIA Y ONCOLOGIA PEDIATRICAS

virtual

21 Y 23 SEPT 2021
28 Y 30 SEPT

C0318 ANÁLISIS DE RESULTADOS DE LEUCEMIA LINFOBLÁSTICA AGUDA EN EDAD PEDIÁTRICA EN UN ÚNICO CENTRO.

PILAR VELARDE LOPEZ DE AYALA, ROCÍO ZAPATA BAUTISTA (HOSPITAL JUAN RAMÓN JIMÉNEZ, HUELVA, ESPAÑA), MARÍA SOLÉ RODRÍGUEZ (HOSPITAL JUAN RAMÓN JIMÉNEZ, HUELVA, ESPAÑA), ENCARNACIÓN GIL ESPÁRRAGA (HOSPITAL VIRGEN DE VALME. SEVILLA)

1 Objetivos/ Metas

El tratamiento de la Leucemia Linfoblástica Aguda (LLA) en niños alcanza porcentajes de respuesta completa (RC) superiores al 90% con un 80% de los pacientes libres de enfermedad a los 5 años. Se analiza la supervivencia global (SG) y supervivencia libre de enfermedad (SLE) en los niños de 0 a 16 años tratados de LLA en un único centro en los últimos 15 años.

2 Material y Métodos/ Material e métodos

Estudio descriptivo retrospectivo de 25 niños con LLA desde diciembre-2006 hasta enero-2021. El análisis de supervivencia se realizó según el método de Kaplan-Meier y comparación mediante test de Log-Rank mediante el programa "IBM SPSS Statistics 22".

3 Resultados

Se diagnosticaron 25 niños de LLA. Edad mediana al diagnóstico: 7.36 (2-15). Los inmunofenotipos fueron; LLA-B Común (76%), LLA pre-B (12%), LLA-B Madura (4%) y LLA de precursores T (8%). 52% de niños pertenecían a RE y 20% a AR. La citogenética mostró; hiperploidía (16%), casi haploidía (4%), pseudodiploidía con alteraciones estructurales (44%), t(12;21) (28%), t(1;19) (8%) y t(8;14) (4%). 92% de niños alcanzaron RC post-inducción y 88% mantuvieron RC en una mediana de 62 meses. La SLE fue del 84% (media de seguimiento de 96 meses con IC 95% (85-106)) y la SG del 88% (media de seguimiento de 91 meses con IC 95% (79-104)). La SG fue del 85% (media de seguimiento 81 meses con IC 95% (68-93)) en el grupo de RE frente a una SG del 80% (media de seguimiento 57 meses con un IC 95% (52-61)) en el grupo de AR. Se muestra una diferencia de 24 meses que no presentó significación estadística. La recaída fue el factor determinante en términos de supervivencia.

4 Conclusiones/ Conclusões

Gracias a los regímenes estratificados se describe un 80% de pacientes libres de enfermedad a los 5 años y un 90% de curaciones. Nuestra serie muestra una SLE (84%) y SG (88%) similar a la descrita en la literatura. La diferencia de 24 meses en términos de SG del grupo de AR frente a RE no presentó significancia estadística, lo que probablemente guarde relación con la muestra insuficiente y la eficacia en la intensificación del tratamiento en los pacientes de AR, lo que acerca cada día más los resultados de los diferentes estratos. El conocimiento de los factores pronósticos y su aplicación clínica evidencian un progreso significativo en el tratamiento de la LLA pediátrica.



SEHOP
SOCIEDAD ESPAÑOLA
DE HEMATOLOGÍA Y ONCOLOGÍA
PEDIÁTRICAS

1^{ER} CONGRESO IBÉRICO DE HEMATOLOGIA Y ONCOLOGIA PEDIATRICAS

virtual

21 Y 23 SEPT 2021
28 Y 30 SEPT

C0320 SERIE DE MEDULOBLASTOMAS DIAGNOSTICADOS EN 2020 EN UN HOSPITAL TERCIARIO

María Muñoz Martínez, Raquel Díaz Merchán (Servicio de Oncohematología Pediátrica, Hospital Universitario de Toledo, Toledo, España), Sara Martín Uceda (Servicio de Pediatría, Hospital Universitario de Toledo, Toledo, España), Roberto Carlos Raynero Mellado (Servicio de Oncohematología Pediátrica, Hospital Universitario de Toledo, Toledo, España), Marcos Zamora Gomez (Servicio de Oncohematología Pediátrica, Hospital Universitario de Toledo, Toledo, España)

1 Objetivos/ Metas

El meduloblastoma es el tumor cerebral maligno más frecuente en la infancia. De origen embrionario del cerebelo y con pico de edad al diagnóstico entre los 6 y 8 años, la incidencia anual se estima en 5 casos por millón de individuos. Según las características clínicas y moleculares se estratifican en cuatro subgrupos con diferencias en tratamiento y pronóstico. El objetivo es presentar una revisión de 5 pacientes diagnosticados de meduloblastoma con amplia variedad clínica, histológica y molecular durante el año 2020 en la comunidad de Castilla la Mancha, tratados hasta el momento según los protocolos actuales.

2 Material y Métodos/ Material e métodos

Estudio descriptivo basado en una serie de 5 casos. Recogida de datos mediante revisión de la historia clínica electrónica respetando la confidencialidad de los pacientes.

3 Resultados

- Caso 1: Niña de 11 años con diagnóstico de meduloblastoma clásico NMYC no mutado con metástasis intramedular. Diagnóstico por clínica de hidrocefalia aguda con cefalea con datos de alarma, vómitos matutinos y marcha inestable. Tratamiento según protocolo ACNS 0332 finalizado en junio 2021. Actualmente en remisión completa.
- Caso 2: Lactante mujer de 17 meses con diagnóstico de Meduloblastoma SHH tp53 wild type. Diagnóstico por clínica de cefalea diaria con datos de alarma. Hidrocefalia activa. Tratamiento según protocolo HEART START III. Finalizado tratamiento y actualmente en remisión completa.
- Caso 3: Niño de 6 años con diagnóstico de meduloblastoma clásico grupo 4 NMYC amplificado. Diagnóstico por clínica de cefalea aguda y vómitos, marcha inestable y dolor cervicolumbar. Hidrocefalia aguda. Tratamiento según protocolo AVNS0332. Actualmente en remisión completa (cuarto ciclo de mantenimiento).
- Caso 4: Niña de 9 años con diagnóstico de meduloblastoma desmoplásico nodular de riesgo estándar. Diagnóstico por diplopía de larga evolución en seguimiento y tratamiento por sospecha de hipertensión intracraneal idiopática con empeoramiento tras retirada de acetazolamida. Tratamiento según protocolo PNET 5. Fin de tratamiento febrero 2021. Actualmente en remisión completa.
- Caso 5: Niño de 6 años con diagnóstico de Meduloblastoma de alto riesgo por metastásico. Diagnóstico por cefalea, vómitos matutinos, diplopía intermitente y astenia. Hidrocefalia activa. Tratamiento según protocolo ACNS 0332. Actualmente en remisión completa (quinto ciclo de quimioterapia de mantenimiento).

4 Conclusiones/ Conclusões

La estratificación por subgrupos de los meduloblastomas atendiendo a criterios histológicos, de extensión y moleculares permite una mejor caracterización de los pacientes y planificación del tratamiento. Gracias a ello en la actualidad los pacientes están libres de enfermedad, aunque se necesita más tiempo de seguimiento para valorar la supervivencia de los mismos.

INFORMACIÓN GENERAL

INFORMAÇÃO GERAL

FECHAS CONGRESO / DATAS CONGRESSO

Los días 21, 23, 28 y 30 de septiembre de 2021.
Dias 21, 23, 28 e 30 de Setembro de 2021.

SEDE ONLINE

CONGRESO VIRTUAL:

El acceso a la plataforma virtual del Congreso es personal e intransferible, solamente se entregará al titular de la inscripción.

Recibirá sus credenciales de acceso 24 horas antes del inicio del Congreso.

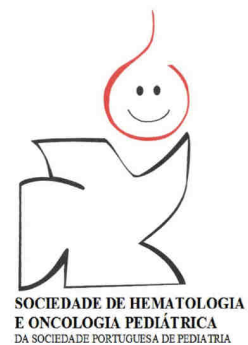
CONGRESSO VIRTUAL:

O acesso à plataforma do Congresso é pessoal e intransmissível e apenas será concedido ao titular da inscrição. Receberá as suas credenciais de acesso 24 horas antes do início do Congresso.

ORGANIZA / ORGANIZAÇÃO



Sociedad Española de Hematología y Oncología Pediátricas
<https://www.sehop.org/>



Sociedade de Hematologia e Oncologia Pediátrica da
Sociedade Portuguesa de Pediatria
<https://www.spp.pt/conteudos/default.asp?ID=401>

SECRETARÍA TÉCNICA



www.geyseco.es
c/ Marina, 27 - 08005 BARCELONA
Tel +34 932212242
barcelona@geyseco.es



SEHOP
SOCIEDAD ESPAÑOLA
DE HEMATOLOGÍA Y ONCOLOGÍA
PEDIÁTRICA

SOCIEDADE DE HEMATOLOGIA
E ONCOLOGIA PEDIÁTRICA
DA SOCIEDADE PORTUGUESA DE PEDIATRIA

**1^{ER} CONGRESSO IBÉRICO
DE HEMATOLOGIA
Y E ONCOLOGIA PEDIÁTRICAS**

virtual

**21 Y 23 SEPT 2021
28 Y 30 SEPT**