



## 05.09. Eficacia y seguridad de las terapias dirigidas en anomalías vasculares: serie de 300 casos

**Paloma Triana<sup>1</sup>, María San Basilio<sup>1</sup>, Carla Ramírez<sup>1</sup>, Lara Rodríguez-Laguna<sup>1</sup>, Juan Carlos Lopez-Gutierrez<sup>1</sup>.**

1. Hospital La Paz, Madrid

### Introducción

El tratamiento de las anomalías vasculares complejas ha experimentado una revolución con la introducción de las terapias dirigidas a dianas moleculares.

### Objetivos

El objetivo es analizar la eficacia y seguridad de estos tratamientos en un centro de referencia.

### Material y método

Análisis retrospectivo de pacientes con anomalías vasculares en tratamiento con terapias dirigidas. Las variables incluyen datos demográficos, tipo de anomalía vascular, genética, respuesta y toxicidad. Se analizó la respuesta y la toxicidad, según el tipo de malformación y el fármaco recibido.

### Resultados

Se incluyeron 265 pacientes y 322 tratamientos (57 pacientes tuvieron más de una terapia dirigida), con un 55.4% de mujeres. La edad media de inicio fue 11 años (desde recién nacidos hasta 62 años). La mayoría de pacientes habían recibido previamente tratamientos quirúrgicos (55.2%) o intervencionistas (61.5%). El fármaco más utilizado fue sirolimus (n=215) con una respuesta positiva del 79.7%, seguido del Alpelisib (n=69) con 100%, Selumetinib (n=17) con 90.9% y Trametinib (n=14) con 80%. Por patologías, la respuesta fue excelente en síndrome CLOVES (n=21) con un 100% de respuesta positiva y malformaciones combinadas (n=49) con un 95.9%; y muy buena en malformaciones linfáticas (n=111) con un 85.9%. La seguridad global es aceptable: un 50.8% de los tratamientos presentó efectos adversos (más frecuente con alpelisib y trametinib), pero la mayoría fueron leves (85%) con una tasa de retirada por toxicidad de solo el 7.9%.

### Conclusiones

Las terapias dirigidas ofrecen una alternativa eficaz y segura para pacientes con anomalías vasculares complejas. La especialización del cirujano pediátrico en el manejo farmacológico molecular permite un control integral y personalizado de la patología, optimizando los resultados clínicos y la calidad de vida de los pacientes.