Belimumab en lupus eritematoso sistémico juvenil: reporte de la vida real

Luciana Lancioni, Luciana Vasconcellos, Juan Pablo Portigliatti, Francisco César Augusto Cano, Georgina Del Giorgio, Marcia Calampuca, María Giselle Villarreal, María Martha Katsicas

Hospital S.A.M.I.C. Dr. Juan P. Garrahan

Introducción: Belimumab es un anticuerpo monoclonal humano que inhibe el estimulador de linfocitos B (BAFF/BLyS) reduciendo la supervivencia y diferenciación de estas células. Si bien ha demostrado eficacia y seguridad en adultos y su uso ha sido aprobado para la población pediátrica con LESj activo, su evidencia en la práctica clínica es escasa.

Objetivo: Describir una cohorte de pacientes con LESj que recibieron belimumab. Evaluar efectividad del tratamiento con belimumab en una cohorte de pacientes con LESj. Valorar recaídas de la enfermedad intra-tratamiento.

Métodos: Estudio retrospectivo que incluyó pacientes con diagnóstico de LESj según criterios SLICC 2012/ EULAR 2019 que recibieron tratamiento según protocolo con belimumab tanto endovenoso como subcutáneo por al menos 12 meses consecutivos desde su aprobación en población pediátrica en 2021 hasta junio de 2026. Se excluyeron aquellos pacientes que no habían recibido la medicación de manera ininterrumpida, que no hubieran cumplido el tiempo mínimo de tratamiento o hubieran perdido seguimiento. Se analizaron variables demográficas, clínicas, de laboratorio y el índice de actividad de enfermedad de LES (SLEDAI). El análisis se realizó en 4 tiempos: diagnóstico, T0 (basal), T1 (6 meses +/- 45 días) y T2 (12 meses +/-45 días). La efectividad se evaluó con SLEDAI teniendo en cuenta dos sets de respuestas. El primero los clasifica en: Enfermedad inactiva (SLEDAI 0); Actividad mínima (SLEDAI <=5); Actividad moderada (SLEDAI 6-10); Actividad grave (SLEDAI 11-19), y Actividad severa (SLEDAI >=20). El segundo define: Respuesta completa a SLEDAI=0; Parcial, a SLEDAI menor al inicial; Estable, al mantener el SLEDAI; Sin respuesta, a un SLEDAI mayor al inicial. Análisis: estadística descriptiva, prueba de Friedman y McNemar.

Resultados: De una cohorte de 153 pacientes con LESj, 22 tuvieron indicación de tratamiento con belimumab y 10 de ellos cumplieron con los criterios de inclusión (F 90 %), con edad promedio de 12 años (5.9-14.7). Al diagnóstico las variables clínicas evidenciaron impactos: 90 % hematológico, 80 % músculoesquelético, 60 % mucocutáneo, 40 % renal (principalmente clase II), pulmonar, constitucional, linfoganglionar y seroso, y 20 % neurológico. Tres pacientes presentaban asociación con enfermedad de Sjögren y uno SAF. Las variables serológicas: 60 % actividad mínima, 10 % actividad moderada, 10 % actividad grave y 20 % actividad severa. En todos los casos se indicó por persistencia de actividad serológica + SLEDAI clínico promedio de 3 (0-16). El tiempo entre el debut hasta el inicio del tratamiento fue de 0.41 años (0.04-2.51). Administración: 90 % EV a 10 mg/kg/dosis (inducción días 0, 14 y 28, luego cada 28 días), 10 % SC a 200 mg/dosis c/ 7, 10 o 14 días según el peso. Tras el análisis de los 3 tiempos, tanto la actividad de la enfermedad (SLEDAI) como los valores de complemento y ADNA no mostraron cambios estadísticamente significativos (Tabla 1). Dentro de los tratamientos que recibieron de manera concomitante (+/- 3 meses) se encontraban hidroxicloroquina

Variable	T0	T1	T2
SLEDAI	4 (0-20)	4 (0-12)	4 (0-12)
C3*	71 (25-117)	71 (39-129)	78 (40-110)
C4*	11 (2-16)	12 (4-19)	13 (3-20)
CD19*	15 (1-61)	9 (3-17)	6 (5-7)
ADNA positivo**	6 (60)	7 (70)	6 (60)
ADNA títulos altos**	4 (40)	4 (40)	2 (20)

*Nota: *mediana (rango); **N (%).*

(100 %), corticoides (80 %) y micofenolato mofetil (30 %). Una paciente había recibido rituximab recientemente y otra abatacept. Evaluación de recaídas: Dos pacientes (20 %). T medio a la recaída 10,5 meses. Tipo de recaídas: 1 renal + hematológico; 1 renal + articular.

Conclusión: Nuestra cohorte refleja un perfil de respuesta terapéutica caracterizado por estabilidad clínica, control aceptable de recaídas y tendencia de mejoría serológica que requerirá un mayor tamaño muestral para confirmar los resultados.

Ecografía muscular como herramienta de evaluación de actividad de enfermedad en miopatías inflamatorias idiopáticas pediátricas

Reumatología Pediátrica 0200

Camila González, Vanesa Laura Cervetto, María Jimena Gomez Sosa, María Emilia Lacapra, Guissela Glenda Lacuadra, María Marcantoni, Federico Vargas, Facundo Gabriel Villalva, Ezequiel Zacañino, María Isabel Brusco

Hospital General de Niños Dr. Pedro Elizalde

Introducción: Las miopatías inflamatorias idiopáticas (MII) se caracterizan por inflamación muscular crónica; la dermatomiositis juvenil (DMJ) es la más frecuente en pediatría. Si bien la RMN es el método de referencia para detectar miositis, la ecografía muscular, según escasos reportes, podría ser de utilidad como técnica accesible y no invasiva.

Objetivo: Determinar la capacidad discriminativa de la ecografía muscular entre MII pediátrica activa e inactiva, y su correlación con parámetros clínicos y bioquímicos.

Métodos: Estudio observacional, descriptivo, analítico, de correlación. Se incluyeron pacientes con MII en seguimiento por reumatología entre 01/2017 y 04/2026, registrando variables demográficas y clínicas (DC). Se realizó ecografía muscular bilateral de bíceps y cuádriceps, ciega a la actividad clínica, con protocolo estandarizado, evaluando ecogenicidad (Heckmatt I-IV), espesor muscular, espesor de fascia, índice de resistencia y Power Doppler. La actividad (activo/inactivo) se definió según criterios de inactividad PRINTO. En DMJ se usó además el índice compuesto JDMAI1 para correlacionar actividad con ecogenicidad. Variables continuas: media (DS) o mediana [RIC] según distribución; categóricas: % (IC95 %). Asociaciones: Fisher y Mann-Whitney; correlaciones: Spearman (IC95 %). El desempeño diagnóstico de ecogenicidad frente al patrón de oro (PRINTO) se evaluó con curva ROC (sensibilidad, especificidad, AUC e IC95 %). Significancia p<0,05. Software R v4.4.2.

Tabla 1.a. Variables demográficas y clínicas continuas

Variable	Media (DS)
Edad a la ecografía (años)	12.9 (3.6)
Edad al diagnóstico (años)	8.5 (3.7)
Duración de enfermedad (meses)	52.7 (50.0)
IMC (kg/m2)	22.0 (5.3)
CMAS (0-52)	42.1 (11.0)
MMT 8 (0-80)	67.3 (13.3)
PGA (VAS 0-10)	0.8 (0.5)
PGAp (VAS 0-10)	0.5 (0.5)
DAS total (0-20)	7.5 (4.9)
DAS muscular (0-11)	2.5 (2.8)
DAS cutáneo (0-9)	5.0 (3.5)
CPK (U/L)	376.8 (1464.1)
Aldolasa (U/L)	6.2 (6.3)
LDH (U/L)	263.4 (218.4)
GOT/AST (U/L)	49.4 (91.5)
GPT/ALT (U/L)	34.7 (47.7)
VSG (mm/h)	13.7 (11.5)
PCR (mg/dL)	2.0 (2.7)

DS: desvío estándar. DMJ: dermatomiositis juvenil. CMAS: Childhood Myositis Assessment Scale. MMT-8: Manual Muscle Testing-8. PGA: evaluación global del médico. PGAp: evaluación global del paciente/cuidador. DAS: Disease Activity Score. IMC: índice de masa corporal. LDH: lactato deshidrogenasa. VSG: eritrosedimentación.

Tabla 1.b. Variables demográficas y clínicas categóricas

Variable	n (%)
Diagnóstico	
DMJ	24 (86%)
Polimiositis	4 (14%)
Sexo	
Femenino	19 (68%)
Masculino	9 (32%)
Uso de corticoides	
No	16 (66%)
Sí	12 (34%)
Uso de inmunosupresor	
No	1 (4%)
Sí	27 (96%)
Calcinosis	
No	22 (79%)
Sí	6 (21%)
Lipodistrofia	
No	21 (75%)
Sí	7 (25%)
Contracturas articulares	
No	20 (71%)
Sí	8 (29%)
Panel de miositis realizado	
No	3 (11%)
Sí	25 (89%)
Ecogenicidad Escala Heckmatt	
Grado I-II	21 (75%)
Grado III-IV	7 (25%)

Tabla 2. Parámetros ecográficos según actividad de enfermedad (U de Mann-Whitney)

Parámetro ecográfico	Inactiva	Activa	p-valor
Ecogenicidad (Heckmatt, peor)	1,0 [1,0-2,0]	2,0 [2,0-3,0]	**0,024**
Espesor muscular (mm, peor)	24,0 [21,0-28,0]	22,0 [19,5-26,0]	0,474
Espesor de fascia (cm, peor)	0,1 [0,1-0,1]	0,1 [0,1-0,1]	0,861
Power Doppler (grado, peor)	1,0 [1,0-1,0]	1,0 [1,0-1,0]	n/d (constante)
Índice de resistencia (peor)	0,7 [0,6-0,7]	0,7 [0,6-0,8]	0,364

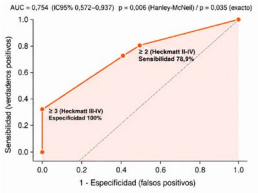


Figura 1. Curva ROC: ecogenicidad muscular (Heckmatt 1-4) para actividad de enfermedad (PRINTO). n=28 (19 activos/9 inactivos).

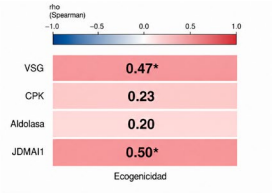


Figura 2. Mapa de calor entre ecogenicidad y parámetros de laboratorio y JDMAI.

Resultados: Se incluyeron 28 pacientes. Variables DC (Tablas 1.a y 1.b). Por PRINTO, 19 (68 %) activos y 9 (32 %) inactivos. La ecogenicidad fue el único parámetro asociado con actividad (mediana Heckmatt II en activos vs. I en inactivos; p=0,024); el resto no mostró diferencias (Tabla 2). Todos los III-IV fueron activos. La ecogenicidad mostró buena capacidad discriminativa para actividad PRINTO, con AUC 0,754 (IC95 % 0,572–0,937; p=0,006). Heckmatt

=III fue altamente específico (100 %, IC95 % 70,1–100 %; VPP 100 %) pero poco sensible (36,8 %, IC95 % 19,1–58,9 %), mientras que Heckmatt =II elevó sensibilidad a 78,9 % (IC95 % 56,7–91,5 %) y bajó especificidad (55,6 %, IC95 % 26,7–81,1 %) (Fig. 1). En DMJ, la ecogenicidad correlacionó con JDMAI1 (rho=0,50; IC95 % 0,12–0,75; p=0,013). Tanto la VSG (correlación positiva; rho=0,47, p=0,017) como la alteración de al menos una enzima muscular (p=0,014) se asociaron con mayor ecogenicidad (Fig. 2). Como hallazgo preliminar, en activos (n=19), la ecogenicidad no difirió entre quienes recibían corticoides (n=12; mediana 2,5) y quienes no (n=7; mediana 2,0; p=0,61).

Conclusión: La ecogenicidad muscular mostró buena capacidad discriminativa de actividad en MII pediátricas, con alta especificidad del grado Heckmatt III-IV, en un área con escasa evidencia bibliográfica previa. Su asociación enzimática podría sugerir compromiso muscular persistente subclínico. Estos resultados, de una cohorte unicéntrica reducida, deben interpretarse como exploratorios y generadores de hipótesis para estudios multicéntricos

Evaluación del compromiso cardiovascular subclínico en lupus eritematoso sistémico de inicio en la infancia mediante un abordaje multimodal no invasivo

Reumatología Pediátrica 0227

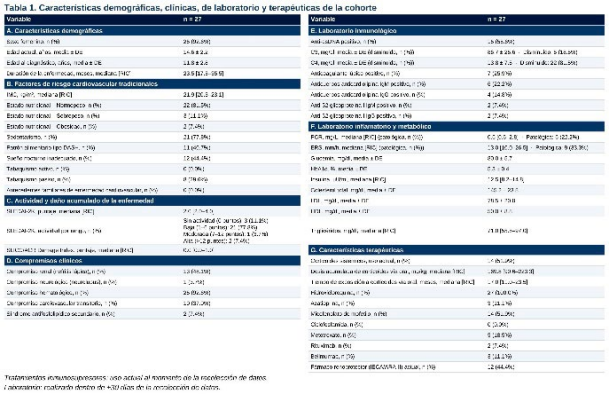
María Emilia Lacapra, Vanesa Cervetto, María Jimena Gomez Sosa, Camila Belén González, Guissela Glenda Lacuadra, María Marcantoni, Federico Vargas, Facundo Gabriel Villalva, Ezequiel Zacañino, María Isabel Brusco, Adriana Iturzaeta

Hospital General de Niños Dr. Pedro Elizalde

Introducción: El lupus eritematoso sistémico de inicio en la infancia (LESi) presenta mayor carga inflamatoria y exposición terapéutica que su forma adulta, con riesgo cardiovascular (CV) elevado desde edades tempranas. El compromiso CV subclínico puede expresarse a nivel hemodinámico, vascular o miocárdico, por lo que un método aislado podría subestimarlo.

Objetivo: Estimar la prevalencia de compromiso CV subclínico mediante evaluación multimodal no invasiva en pacientes (ptes.) con LESi, determinar el rendimiento diagnóstico (dx.) aislado y acumulado de cada modalidad y explorar su asociación con variables clínicas, de laboratorio y terapéuticas.

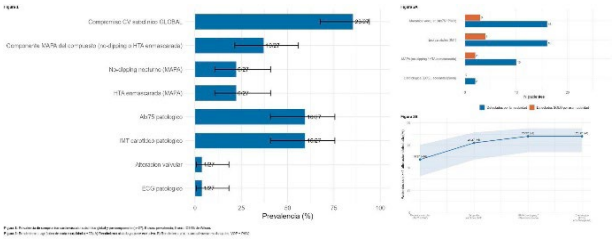
Métodos: Estudio transversal, inclusión consecutiva de ptes. con LESi (SLICC 2012), >=6 meses de evolución desde el dx., evaluados 10/2025-7/2026 en un hospital pediátrico de tercer nivel. Se excluyeron cardiopatía estructural/crónica, HTA crónica, ERC >=estadio 3 y trastornos respiratorios del sueño con repercusión hemodinámica. Se realizó MAPA 24h (SpaceLabs), mecánica vascular oscilométrica (VOP, AIx75), IMT carotídeo ((Mindray DC80), ecocardiograma con *strain* (GLS/GCS, Canon Aplio i900) y ECG; laboratorio ±30 días. Compromiso subclínico: >=1 de 5 componentes alterado. Variables continuas: media (DE) o mediana (RIC); categóricas: n (%); proporciones con IC95 % de Wilson. Comparaciones con t de Student, Mann-Whitney y Fisher; correlaciones con Pearson/Spearman. Se preespecificaron 20 pruebas confirmatorias (*outcomes* CV frente a duración de enfermedad, SLEDAI-2K, dosis acumulada y uso actual de corticoides (CTC)) por plausibilidad biológica; 108 comparaciones exploratorias se corrigieron por FDR (Benjamini-Hochberg). El rendimiento aislado y acumulado describe cuántos ptes. detecta cada modalidad y la detección adicional al sumarlas en orden decreciente de rendimiento; refleja contribución/complementariedad entre modalidades, no sensibilidad/especificidad. R 4.4.2.


Tabla 1. Características demográficas, clínicas, de laboratorio y terapéuticas de la cohorte

Variable	n = 27
A. Características demográficas	
Edad actual, años, media ± DE	14.8 ± 2.2
Edad al diagnóstico, años, media ± DE	13.8 ± 2.2
Demora diagnóstica, meses, mediana (IQR)	10.5 [5.2 – 18.8]
B. Factores de riesgo cardiovascular tradicionales	
IMC, kg/m², media (IC95)	21.9 [20.3 – 23.3]
Estado nutricional: Normopeso, n (%)	22 (81.5%)
Estado nutricional: Sobrepeso, n (%)	5 (18.5%)
Estado nutricional: Obesidad, n (%)	2 (7.4%)
Tratamiento, n (%)	21 (77.8%)
Perfil alimentario tipo DASH+, n (%)	11 (40.7%)
Sueño nocturno suficiente, n (%)	12 (44.4%)
Tabaquismo activo, n (%)	0 (0.0%)
Tabaquismo pasivo, n (%)	8 (29.6%)
Antecedentes familiares de enfermedad cardiovascular, n (%)	0 (0.0%)
C. Actividad y daño acumulado de la enfermedad	
SLICC/ACR-DI, puntaje mediana [IQR]	0.0 [0.0–0.5]
SLICC/ACR-DI, actividad renal, n (%)	Sí: 2 (7.4%) [IC 95% 1.3–24.3]; Riesgo: 0 – 27 (100%); Sin datos: 0 – 27 (100%)
SLICC/ACR-DI, daño acumulado, n (%)	Sí: 2 (7.4%) [IC 95% 1.3–24.3]
SLICC/ACR-DI, daño acumulado, puntaje, mediana [IQR]	0.0 [0.0–0.0]
D. Compromiso clínico	
Compromiso renal activo, n (%)	1 (3.7%)
Compromiso neurológico, presente/ausente, n (%)	1 (3.7%)
Compromiso hematológico, n (%)	2 (7.4%)
Compromiso cardiovascular clínico, n (%)	0 (0.0%)
Enfermedad cardiovascular documentada, n (%)	0 (0.0%)

Variable	n = 27
E. Laboratorio inmunológico	
Anti-dsDNA positivo, n (%)	15 (55.6%)
C3, mg/dl, media ± DE (Referencia)	89.7 ± 23.6 (90 – 180 mg/dl)
C4, mg/dl, media ± DE (Referencia)	13.8 ± 7.5 (> 20 mg/dl)
Anticoagulante lúpico positivo, n (%)	7 (25.9%)
Anticardiolipina IgG positiva, n (%)	6 (22.2%)
Anticardiolipina IgG positiva, n (%)	4 (14.8%)
Anti b2 glicoproteína I IgA positiva, n (%)	2 (7.4%)
Anti b2 glicoproteína I IgG positiva, n (%)	2 (7.4%)
F. Laboratorio inflamatorio y metabólico	
PCR, mg/L, mediana [IQR] (Referencia: < 5 mg/L)	0.2 [0.2 – 2.8] (Patológico: 5 (22.2%))
BRS, medh, mediana [IQR] (Referencia: < 1 mg/dl)	2.9 [2.0 – 26.0] (Patológico: 19 (85.3%))
Glucemia, mg/dl, media ± DE	85.0 ± 7.7
HbA1c, %, media ± DE	5.2 ± 0.4
Insulina, UI/mL, mediana [IQR]	7.9 [5.9 – 11.5]
Colesterol total, mg/dl, media ± DE	150.1 ± 30.0
LDL, mg/dl, media ± DE	79.5 ± 19.8
HDL, mg/dl, media ± DE	50.8 ± 9.6
Triglicéridos, mg/dl, mediana [IQR]	73.0 [54.0 – 97.0]
G. Características terapéuticas	
Corticoides, exposición acumulada, n (%)	24 (88.9%)
Dosis acumulada de corticoides vía oral, mg/kg, mediana [IQR]	386.9 [128.6–2530.0]
Tiempo de exposición a corticoides vía oral, meses, mediana [IQR]	24.0 [11.0 – 48.0]
Hidroxicloroquina, n (%)	24 (88.9%)
Azatioprina, n (%)	5 (18.5%)
Micofenolato de mofetilo, n (%)	14 (51.9%)
Ciclofosfamida, n (%)	0 (0.0%)
Rituximab, n (%)	5 (18.5%)
Belimumab, n (%)	2 (7.4%)
Belimumab, n (%)	5 (18.5%)
Primera exposición a IECA/ARA II, n (%)	12 (44.4%)

Tratamientos en mantenimiento, uso actual al momento de la recolección de datos. Laboratorio realizado dentro de +30 días de la recolección de datos.



Resultados: Se incluyeron 27 ptes. (Tabla 1). El compromiso subclínico estuvo presente en 85,2 % (23/27; IC95 % 67,5–94,1), a expensas principalmente de AIx75 e IMT (Figura 1). El *strain* fue normal en todos los evaluables. El 51,9 % de la cohorte presentó >=2 alteraciones simultáneas. Rendimiento dx: mecánica vascular y ecografía carotídea fueron las de mayor rendimiento aislado (59,3 % c/u), incrementándose a 85,2 % al sumarlas junto con MAPA (Figura 2). ECG y ecocardiograma no aportaron pacientes adicionales. De 20 pruebas confirmatorias, dos fueron significativas: AIx75 (21,3 % sin vs. 29,9 % con CTC actuales; p=0,014) y VOP (3,92 m/s sin vs 4,21 m/s con CTC actuales; p=0,030); no hubo asociación con dosis acumulada, duración ni SLEDAI-2K. En un análisis exploratorio adicional, el uso de CTC se mantuvo asociado a mayor VOP tras ajustar por la PAM de 24h (ß=0,208; IC95 % 0,017–0,399; p=0,034). De 108 comparaciones exploratorias, 5 (4,6 %) fueron nominalmente significativas y ninguna sobrevivió al FDR (ej. GLS-SLICC: rho=0,609; p=0,003; p-FDR=0,151).

Conclusión: El 85,2 % de los ptes. con LESi presentó compromiso cardiovascular subclínico —a expensas del compartimento vascular (AIx75, IMT) y, en menor medida, hemodinámico (MAPA)—, con función miocárdica preservada, a pesar de la baja actividad de enfermedad. El abordaje multimodal incrementó el rendimiento diagnóstico frente a la evaluación aislada (59,3 % vs. 85,2 %). El uso de CTC, a diferencia de la dosis acumulada o duración de la enfermedad, se asoció a mayor rigidez arterial.

Panarteritis nodosa sistémica y cutánea: características clínicas y terapéuticas en una cohorte pediátrica

Reumatología Pediátrica 0261

Carmen Mendoza Llerena, Ayelén Ojeda Silva, Laura Lorena Guerini, Ma. Laura Barzola, Marcela Alvarez, Silvia Mónica Meiorin

Hospital General de Niños Dr. Ricardo Gutiérrez

Introducción: Panarteritis nodosa (PAN) pediátrica es una vasculitis infrecuente y clínicamente heterogénea, con un espectro de manifestaciones desde formas cutáneas hasta sistémicas multiorgánicas. La variabilidad en presentación, evolución y respuesta terapéutica plantea desafíos diagnósticos y dificulta la caracterización de estos pacientes.

Objetivo: Describir manifestaciones clínicas, evolución y tratamiento de ptes. pediátricos con PAN, comparando formas cutáneas y sistémicas.

Métodos: Estudio descriptivo, retrospectivo, de revisión de historias de ptes. con PAN (Desde 2000). Se analizaron variables demográficas, clínico-evolutivas y terapéuticas. Se revisaron biopsias y estudios angiográficos. Evaluación clinimétrica por PVAS y PVDI, de actividad y daño, respectivamente. Los resultados fueron analizados según fenotipo cutáneo (PAN-c) vs. sistémico (PAN-s). Estadística descriptiva. SPSS 30.0. Resultados: Se incluyeron 19 ptes. con PAN, 13 (68 %) mujeres, edad X Dx 7,4 años (±3,5) y seguimiento X 5,8 (±5) años, siendo 10 formas cutáneas y 9 sistémicas. En este último grupo, 3 ptes. fueron derivados con dx de enfermedad de Kawasaki (2) y enfermedad de Still (1), en quien luego se confirmó Deficiencia ADA2. Todos los ptes. con PAN-c presentaron síntomas constitucionales, cutáneos (nódulos y livedo) 90 % y dolor neuropático en MMII en 8 ptes. La biopsia cutánea confirmó vasculitis necrotizante en 8 niños. Seis ptes. presentaron recaídas (X 2,5), la mayoría por reinfecciones por St. Pyogenes, recibiendo profilaxis penicilina benzatínica a largo plazo. Todos fueron tratados con corticoides, siendo metotrexate la droga más utilizada como mantenimiento de remisión (n=8). En grupo PAN-s, *score* X actividad PVAS al Dx. fue 13, y prevalencia de compromiso orgánico: gastrointestinal en 8 casos (2 isquemia severa con resección intestinal), cardíaco en 7 ptes. (pericarditis y coronariopatía), mononeuritis múltiple 3, e hipertensión renovascular refractaria en 2 niños y nefrectomía en otro. Necrosis cutánea en 2/9 niños (nasal y extremidades). Cursos monofásico

y recurrente estuvieron igualmente representados (n=4). A última consulta, 8 ptes. (88.9 %) presentaron daño orgánico (PVDi X 2, aneurismas coronarios y vascular periférico). Recibieron inmunosupresión con ciclofosfamida (n=5) y en 4 casos agentes anti-TNF/CD20 por refractariedad. Una paciente falleció como consecuencia de compromiso multiorgánico grave asociado a un diagnóstico tardío.

Conclusión: En nuestra cohorte de ptes. pediátricos con PAN, las formas cutáneas fueron las más frecuentes (52,6 %). Todos los ptes. recibieron corticoides, prevalentemente combinado con metotrexate y ciclofosfamida en las formas cutáneas y sistémicas, respectivamente. A pesar de tratamientos agresivos en PAN-s, 1 paciente falleció y el resto desarrolló daño orgánico (predominio de compromiso cardíaco y vascular). Un diagnóstico y abordaje tempranos son fundamentales para limitar la morbimortalidad en estos pacientes.

Evolución y tratamiento en enfermedad de Still pediátrica: experiencia de la vida real en un centro terciario

Reumatología Pediátrica 0276

Diego Ignacio González Márquez, Ayelén Ojeda Silva, Marcela Beatriz Álvarez, Ma. Laura Barzola, Laura Lorena Guerini, Silvia Mónica Meiorin

Hospital General de Niños Dr. Ricardo Gutiérrez

Introducción: La enfermedad de Still pediátrica es una enfermedad autoinflamatoria sistémica de presentación heterogénea, cuyo curso clínico puede ser variable y potencialmente grave. En los últimos años, la incorporación de terapias dirigidas ha modificado el abordaje terapéutico, aunque persisten desafíos en el manejo de la enfermedad en la práctica clínica habitual.

Objetivo: Objetivos: 1) Describir las características clínico-evolutivas en una cohorte de niños con Enfermedad de Still. 2) Comparar los grupos de pacientes de acuerdo a la estrategia terapéutica recibida (DAM convencionales vs. biológicos).

Métodos: Estudio retrospectivo, de revisión de historias clínicas de pacientes con enfermedad de Still diagnosticados a partir de 2012 (acceso biológicos Il-1/IL-6), donde se analizaron variables demográficas, clínicas, laboratorio, curso de enfermedad y terapéuticas. Evaluación clinimétrica de actividad y daño según s-JADAS y JADI, respectivamente. Para el análisis los pacientes fueron agrupados según administración o no de terapias biológicas. Análisis estadístico descriptivo, Chi2 y T-test. SPSS 30.0.

Resultados: Se incluyeron 53 pacientes, 29 (54,7 %) mujeres, edad $\bar{x}$ Dx. 7,1 (±3,9) años y tiempo $\bar{x}$ seguimiento 6,4 (±4,2) años. Las manifestaciones clínicas más frecuentes al inicio incluyeron (n, %) fiebre en todos los ptes., *rash* 47 (88,7) y artritis 41 (77,4), siendo el patrón prevalente poliarticular (54 %), *score* $\bar{x}$ s-JADAS 28.2 (±10,8). Laboratorio, valor $\bar{x}$ (±DE): fibrinógeno 558,7 mg/dL (±159), PCR 101,9 mg/L (±61,7) y plaquetas 523.490/mm^3 (±164.944). Como complicaciones, 16 ptes. desarrollaron SAM (3 como forma de presentación) y 1 afectación pulmonar (proteinosis alveolar, HLA-DR1 B15). Todos los pacientes fueron tratados con corticoides sistémicos; 16 niños (30,2 %) expuestos a DAM convencionales (metotrexate y ciclosporina) vs. 37 (69,8 %) que recibió =1 droga biológica. Prevalencia de biológicos (n): tocilizumab 35, canakinumab 7, anakinra 2 y anti-TNFa 7. Los bloqueantes Il-1/6 se incorporaron tempranamente en 31 ptes. (83,8 %). No se hallaron diferencias significativas clínicas ni de laboratorio entre los grupos. Entre los pacientes tratados con biológicos, en 29 ptes. predominó el curso persistente/policíclico (85,3 %; p=0,0001) y a la última consulta, 26 ptes. (70,3 %) alcanzaron la remisión clínica, manteniendo la medicación 20/26 ptes. (77 %; p= 0.043).

Conclusión: En esta cohorte de pacientes con Still pediátrico, el 69.8 % recibió tratamiento con drogas biológicas, predominantemente tocilizumab, introducidas dentro de los primeros 3 meses de la enfermedad. En este subgrupo de pacientes si bien predominó el curso no monofásico, el 70.3 % alcanzó la remisión de la enfermedad cuando se los comparó con el grupo de tratamiento convencional.

Volver al índice