



FONDO NACIONAL  
DE RECURSOS

Medicina Altamente Especializada

# **TRATAMIENTO DE LA TRICOLEUCEMIA CON CLADRIBINE (clorodeoxiadenosina o 2 – CDA)**

## **NORMATIVA DE COBERTURA**

**Realizada: Enero 2011**

**Revisada: Noviembre 2018**



# TRATAMIENTO DE LA TRICOLEUCEMIA CON CLADRIBINE

NORMATIVA DE COBERTURA  
DEL FONDO NACIONAL DE RECURSOS



Realizada: Enero 2011  
Revisada: Noviembre 2018

## FNR – Normativa de Cobertura

### TRATAMIENTO DE TRICOLEUCEMIA (leucemia a células peludas) con Cladribine (clorodeoxiadenosina o 2 – CDA)

El documento se encuentra disponible en: [www.fnr.gub.uy](http://www.fnr.gub.uy)

La normativa incluye:

- Indicaciones con cobertura financiera por el Fondo Nacional de Recursos.

*El Fondo Nacional de Recursos es un Organismo Público No Estatal creado el 1o de diciembre de 1980 y regulado por la Ley N° 16.343 del 11 de enero de 1993 y su Decreto Reglamentario N° 358/93, que financia procedimientos médicos altamente especializados y medicamentos de alto costo, comprendidos en las normativas de cobertura vigentes, para los usuarios del Sistema Nacional Integrado de Salud, contribuyendo a la mejora de la calidad y a la sostenibilidad económico – financiera del Sistema.*

Fondo Nacional de Recursos  
18 de Julio 985, Galería Cristal 4to. Piso  
Tel: 2901 4091 - Fax: 2902 0783  
C.P. 11.100, Montevideo, Uruguay.  
Email: [fnr@fnr.gub.uy](mailto:fnr@fnr.gub.uy)  
[www.fnr.gub.uy](http://www.fnr.gub.uy)

Técnicos Asesores Dr. Pablo Muxi, Dr. Lem Martinez

Fondo Nacional de Recursos, Noviembre 2018. Este material puede ser reproducido total o parcialmente con fines de difusión, asistenciales y de capacitación. No se autoriza el uso comercial salvo autorización expresa del organismo.

Para citar esta normativa:

Fondo Nacional de Recursos (FNR): "TRATAMIENTO DE LA TRICOLEUCEMIA CON CLADRIBINE" Montevideo, Uruguay – Fondo Nacional de Recursos, Noviembre 2018.



## Contenido

1. INTRODUCCIÓN.....	6
Tricoleucemia o Leucemia a células peludas.....	7
2. INDICACIONES CON COBERTURA DEL FNR .....	8
Tratamiento de la tricoleucemia .....	8
Criterios de inclusión.....	8
Criterios de exclusión .....	8
3. PROTOCOLOS DE TRATAMIENTO: .....	8
4. AUTORIZACIÓN DE COBERTURA DE TRATAMIENTOS .....	9
5. SEGUIMIENTO Y CONTROL DE LOS TRATAMIENTOS AUTORIZADOS .....	11
6. BIBLIOGRAFÍA.....	12



## 1. INTRODUCCIÓN

En el marco del Sistema Nacional Integrado de Salud, el Ministerio de Salud Pública ha iniciado un proceso de incorporación de medicamentos a la cobertura universal de salud. Los medicamentos de alto precio son financiados a través del FNR, de acuerdo con normativas de cobertura financiera elaboradas para cada caso.

La normativa es revisada periódicamente a efectos de adecuarla a la evolución de la evidencia científica disponible, así como al contexto específico del sistema de salud de nuestro país.

La incorporación de medicamentos a un sistema de cobertura universal, requiere contar con estrategias bien definidas para el control de las indicaciones y la evaluación de los resultados. La aplicación de esas herramientas permite tomar decisiones fundamentadas, con parámetros objetivos para la cobertura y sostenibles a lo largo del tiempo. De esta forma se establece una relación estrecha entre la calidad, la equidad y la sustentabilidad.

Es fundamental que los médicos tratantes y las instituciones de asistencia conozcan y manejen este marco normativo en el que se basa la cobertura financiera del FNR. El correcto llenado de los formularios, el envío en tiempo y forma de los datos de seguimiento son requisitos imprescindibles en el inicio y continuidad de los tratamientos.

Esta normativa fue elaborada por el equipo técnico del FNR, según la metodología general establecida, a partir de las recomendaciones de la Comisión Técnico Asesora creada por el artículo 10 de la Ley 16.343, con base en la revisión bibliográfica de la evidencia disponible y de las recomendaciones internacionales sobre indicaciones y políticas de cobertura.

## Tricoleucemia o Leucemia a células peludas

Es una enfermedad hematológica maligna, que constituye el 2 – 5% de las leucemias crónicas de estirpe B, con una incidencia estimada entre 1.6 – 2.6 nuevos casos por millón de habitantes por año (nuevos casos estimados para nuestro país por año: 7 nuevos pacientes).

La mediana de edad al debut es de 55 años, con un predominio en el sexo masculino (80%). Clínicamente las manifestaciones más frecuentes son: síntomas constitucionales, esplenomegalia y citopenias periféricas (anemia, leucopenia y trombocitopenia).

El punto clave en el diagnóstico, es la presencia de tricoleucocitos: células grandes con prolongaciones citoplasmáticas (pelos) que en forma característica presentan positividad para la fosfatasa ácida tartrato resistente (TRAP).

El inmunofenotipo confirma el origen B, con un perfil posterior a la LLC que se acerca a la célula plasmática (no existe un perfil definido característico). La citogenética y la biología molecular, han contribuido en los últimos años como complemento diagnóstico.

Los tratamientos disponibles son:

- Abstención terapéutica para casos muy seleccionados (fases iniciales, con citopenias leves y ausencia de compromiso tumoral).
- Esplenectomía, actualmente reservada para esplenomegalias masivas, con citopenias secundarias a hiperesplenismo.
- Interferón, con el cual se obtiene un porcentaje de respuestas del entorno del 90 % de las cuales solo un bajo porcentaje son completas. Esta opción hoy aparece hoy superado por el uso de análogos de las purinas.
- Cladribine (Clorodeoxiadenosina o 2-CDA), constituye hoy el tratamiento de primera línea, con una tasa de respuestas del 95% con un 85% de respuestas completas, con un 70 % de pacientes que mantienen remisión a los 4 años.

## 2. INDICACIONES CON COBERTURA DEL FNR

### Tratamiento de la tricoleucemia

#### Criterios de inclusión

- a. Diagnóstico confirmado de tricoleucemia.
- b. Debut de enfermedad con indicación de tratamiento.
- c. Recaída a un plan convencional que no incluyó 2 - CDA.
- d. Recaída dentro luego de 36 meses a un tratamiento de 2 - CDA.
- e. Situación clínica del paciente al diagnóstico que permita predecir que tolerará el protocolo de tratamiento establecido en cuanto a intensidad de tratamiento.

#### Criterios de exclusión

- a. Mala calidad de vida y/o pobre expectativa de vida por otras situaciones comórbidas.
- b. Enfermedades psiquiátricas severas, droga – dependencia con evaluación psicológica negativa previa acerca de posibilidades de adhesión al tratamiento.

## 3. PROTOCOLOS DE TRATAMIENTO:

- **Cladribine 0.1 mg/kg al día durante 7 días en infusión o subcutánea.\***

\*En caso de no obtenerse respuesta completa o parcial estable con hemograma normal, puede evaluarse la necesidad de un 2° ciclo de tratamiento.



## 4. AUTORIZACIÓN DE COBERTURA DE TRATAMIENTOS

Además del diagnóstico de Tricoleucemia, en todos los pacientes se tomará en cuenta una valoración integral que incluya edad, comorbilidades, calidad de vida y pronóstico, de tal manera que de la evaluación surja una expectativa de vida razonable.

Las complicaciones o efectos colaterales derivadas del tratamiento deberán ser resueltas por la institución en la cual se asiste el paciente.

### 4.1 Evaluación técnica de las solicitudes

La autorización de tratamientos por parte del FNR se hará basándose en la evaluación técnica de las solicitudes, requiriéndose para ello el envío de la documentación que se especifica más adelante.

### 4.2 Requisitos del trámite de autorización

- **Envío de la solicitud**

Las solicitudes de tratamiento serán enviadas al FNR, en donde se estudiará la pertinencia de la indicación en función de la presente normativa, verificándose además el cumplimiento de los aspectos administrativos necesarios para dar curso a la misma.

- **Indicación**

La indicación del tratamiento solicitado constituye una etapa indisoluble del tratamiento integral del paciente, en consecuencia es responsabilidad directa del médico hematólogo tratante y de la institución asistencial que da cobertura al paciente. El formulario de solicitud debe ser firmado por el médico hematólogo tratante, identificado con su número de caja profesional.

- **Documentación necesaria**

- Fotocopia de Cédula de Identidad del paciente.
- Formulario de inicio de trámite.

El formulario de inicio de trámite es un formulario preimpreso, cuyo modelo es aportado por el FNR y en donde deben ser llenados los datos identificatorios del paciente y de contacto, datos del referente, datos del prestador de salud, prestación solicitada.

- **Hoja de consentimiento informado.**

El trámite de solicitud debe acompañarse del consentimiento informado del paciente a los efectos de la realización del acto médico. Este consentimiento será recabado por el médico hematólogo tratante en un modelo de consentimiento aportado por el FNR. Deberá constar en el mismo la firma del médico y del paciente. Para el caso de pacientes menores de edad o incapaces, el consentimiento será firmado por sus padres, tutores o curadores.

- **Formulario de Solicitud de Tratamiento.**

Los datos médicos que justifican la indicación del tratamiento deben ser recogidos en el Formulario de Solicitud. Se trata de un modelo aportado por el FNR y que contiene datos sobre las condiciones del paciente y la patología de la cual surge la indicación del tratamiento solicitado. El FNR registrará en su base de datos la información de este formulario por lo cual es imprescindible registrar en forma completa todos los ítems consignados en los casilleros correspondientes. Cualquier omisión en su llenado será causal de devolución de la solicitud.

- **Historia Clínica.**

La misma debe ser completa y claramente legible, destacando los principales hechos clínicos y la evolución, de tal manera que de su lectura y análisis resulten claramente los motivos de la indicación.

El envío de esta historia clínica es indispensable ya que la información que se aporta en un formulario precodificado (altamente funcional a los efectos de registro) es necesariamente parcial y en ocasiones no refleja cabalmente la situación del paciente.

### 4.3 Paraclínica necesaria para la autorización

Es indispensable que al paciente se le hayan realizado los siguientes estudios, que deberán ser recientes y enviarlos al FNR.

- Hemograma con lámina periférica.
- Estudio de Médula Ósea: mielograma con inmunofenotipo y biopsia con IHQ.
- Estudio citogenético.
- Estudio de medio interno:
- Creatininemia y azoemia.
- Ionograma con calcemia.
- Funcional y enzimograma hepático.
- PEF
- Beta 2 microglobulina
- LDH.
- Ecografía abdominal u otra imagen que evalúe esplenomegalia.
- Evaluación cardiovascular: Rx de tórax, ECG y ecocardiograma.
- Serología para hepatitis B y C; HIV.

Quedará a criterio del FNR la necesidad de solicitar que se actualicen y/o amplíen los estudios paraclínicos.

En caso que surja la necesidad de ampliar información respecto a la situación clínica y a la evolución, el FNR podrá recabar información con el médico tratante, con el paciente o con la institución de origen.

## 5. SEGUIMIENTO Y CONTROL DE LOS TRATAMIENTOS AUTORIZADOS

1. Autorizado el tratamiento en las condiciones establecidas, el FNR emitirá autorización correspondiente a la Institución de origen del paciente con copia al proveedor, en base a la cual se entregará tratamiento autorizado, a través de los mecanismos que considere pertinentes. Concomitantemente se podrá contactar al paciente para ser evaluado en el FNR.
2. Al finalizar o suspender el tratamiento, el médico hematólogo tratante deberá informarlo al FNR en formulario de resumen de fin de tratamiento.
3. La institución deberá enviar al FNR, informe de seguimiento en forma semestral, en formulario diseñado para tal fin.

4. El FNR implementará actividades de auditoría, seguimiento y control técnico – administrativo de este tratamiento al igual que de los demás procedimientos que financia, incluyendo consultas directas a los pacientes tratados, control de historias clínicas y otras que entienda pertinentes para el cumplimiento de sus fines.
5. Todos los formularios referidos en la presente normativa se encuentran disponibles en la página Web del FNR [www.fnr.gub.uy](http://www.fnr.gub.uy)

Las Instituciones que no cumplan con el envío de la información requerida en esta normativa, podrán quedar excluidas de nuevos tratamientos hasta tanto no regularicen la información pendiente.

## 6. BIBLIOGRAFÍA

1. Orfao A, San Miguel JF. Síndromes linfoproliferativos crónicos con expresión hemoperiferica no LLC. En: Sans. Sabrafen J, Besses Raebel C, Vives Corrons JL. Hematología Clínica. 5 ed. Madrid: Elsevier España SA; 2006. p. 475-90.
2. Saven A, Burian C, Koziol JA, Piro L. Long-Term Follow-Up of Patients With Hairy Cell Leukemia After Cladribine Treatment. Blood 1998; Sep 15. 92(6):1918- 26
3. National Cancer Institute. Leucemia de células pilosas: Tratamiento. Disponible en: <http://www.cancer.gov/espanol/pdq/tratamiento/leucemia-de-celulas-pilosas/healthprofessional>. Acceso el 6 de enero 2011.