



## Neutropenia e Glicogenosi di tipo Ib: outcome di pazienti trattati con G-CSF

(Neutropenia in glycogen storage disease Ib: outcomes for patients treated with granulocyte colony-stimulating factor)

Dale DC, Bolyard AA, Marrero T, Kelley ML, Makaryan V, Tran E, Leung J, Boxer LA, Kishnani PS, Austin S, Wanner C, Ferrecchia IA, Khalaf D, Maze D, Kurtzberg J, Zeidler C, Welte K, and Weinstein DA

*Curr Opin Hematol. 2019 Jan;26(1):16-21*

La neutropenia, che spesso può essere riscontrata nei pazienti affetti da Glicogenosi di tipo Ib, viene frequentemente trattata con G-CSF, un fattore stimolante le colonie granulocitarie.

G-CSF è un fattore di crescita essenziale per la produzione e il mantenimento di livelli normali di neutrofili nel sangue. La somministrazione farmacologica stimola la produzione dei neutrofili e il loro rilascio nel circolo ematico, aumentandone la conta totale.

Per una migliore comprensione dei benefici e degli effetti avversi associati al trattamento con G-CSF di pazienti con Glicogenosi di tipo Ib, gli autori di questo articolo hanno revisionato le attuali evidenze scientifiche riguardanti gli outcome a lungo termine di pazienti sottoposti a tale terapia. Sono stati esaminati 103 pazienti, 47 adulti di età compresa tra 18-47 anni e 56 bambini di età compresa tra 1-17 anni.

È stato osservato come la neutropenia sia un fenomeno ricorrente nell'ambito della patologia e come si abbia una risposta dose-dipendente al trattamento con G-CSF, rispondendo maggiormente ad una dose relativamente bassa (mediana: 3 mcg/kg/die) Tale fattore risulta efficace nel ridurre le infezioni e, associato ad altri farmaci (salicilati, sulfasalazina e prednisone), migliora i sintomi associati all'enterocolite nella maggior parte dei soggetti trattati. Inoltre sono stati analizzati i dati relativi a tre donne gravide che suggeriscono gli effetti benefici del G-CSF, assicurando loro il normale decorso della gravidanza.

Le osservazioni longitudinali mostrano risposte al trattamento a lungo termine, mantenuto approssimativamente alla stessa dose per periodi molto lunghi (più di 29 anni).

La splenomegalia è una caratteristica molto comune, con basse dosi di G-CSF l'ingrossamento della milza è solitamente graduale, un ingrossamento massivo invece è una complicanza inaspettata. La dose di assunzione deve essere quindi limitata a causa della possibile associazione a splenomegalia e conseguente dolore addominale.

Possiamo concludere che sia stata riscontrata l'efficacia dell'utilizzo di G-CSF nel trattamento di pazienti con GSD di tipo Ib, tale terapia deve essere però accuratamente monitorata