

Hydroxyurea appears beneficial in patients with beta-thalassaemia major and intermedia

S. Fadilah S. Abdul Wahid, author

Deskripsi Lengkap: <https://lib.ui.ac.id/detail?id=100439&lokasi=lokal>

Abstrak

Pasien dengan kelainan bawaan pada rantai b-globin mungkin mengalami gejala penyakit yang lebih ringan jika mereka menghasilkan hemoglobin fetal (HbF) dengan kadar yang tinggi. Penggunaan hydroxyurea (HU) telah memperlihatkan peningkatan kadar HbF pada pasien penyakit "sickle cell", dan mungkin berguna pada b-talassemia. Kami memberi terapi HU kepada 13 pasien b-talassemia intermedia atau mayor, termasuk 6 pasien splenektomi. Pasien-pasien diberi dosis eskalasi (10 sampai 25 mg/kg/h) HU selama sekitar 2 tahun (median: 21 bulan, "range": 8 - 55 bulan). Sebelas pasien menunjukkan respons kenaikan HbF pada pra-transfusi, masing-masing dari median awal 8,0% (2,5 - 61,3%) menjadi 28,0% (6,6 - 49,2%) dan 40,7% (4,8 - 72,3%) pada 3 bulan dan 18 bulan pasca terapi HU. Kenaikan yang sama pada nilai median Hb terlihat pada 1, 3 dan 18 bulan terapi HU. Enam dari 7 pasien yang tergantung transfusi yang menunjukkan kenaikan HbF (seorang dengan b-talassemia mayor), juga memperlihatkan penurunan kebutuhan transfusi setelah dua tahun terapi HU. Respons terhadap HU juga terlihat dengan adanya pengecilan limpa. Selain ulkus di mulut yang menghilang dengan penurunan dosis HU, tidak terlihat toksisitas lain yang bermakna. Dapat disimpulkan bahwa pemberian HU pada pasien b-talassemia menyebabkan peningkatan produksi HbF disertai perbaikan pada eritropoiesis, tanpa toksisitas yang bermakna. (Med J Indones 2007; 16:78-83).

Patients with severe inherited b-globin chain disorders may have milder illness if they produce high levels of fetal hemoglobin (HbF). Hydroxyurea (HU) has been shown to enhance HbF levels in patients with sickle cell disease and may be useful in b-thalassemias. We administered HU to 13 patients with b-thalassemia intermedia or major, including 6 splenectomized patients. The patients received escalating doses (10 to 25 mg/kg/d) of HU for around 2 years (median: 21 months, range: 8 - 55 months). Eleven patients responded with an increase in the pre-transfusion HbF levels, from a base line median of 8.0% (2.5 - 61.3%) to 28.0% (6.6 - 49.2%) and 40.7% (4.8 - 72.3%) at 3 months and 18 months post-HU, respectively. A concomitant increment in median hemoglobin levels was noted at 1, 3 and 18 months of HU therapy. Six of 7 transfusion-dependent patients who had an increment of HbF (one with b-thalassemia major) also had reduced transfusion requirement over the 2-year period of HU therapy. Response to HU was also shown by a reduction in spleen size. Apart from oral ulcers that resolved upon dose reduction of HU, no significant toxicity was noted. We conclude that increased HbF production in b-thalassemia patients, with an improvement in erythropoiesis, can be achieved using HU with minimal toxicity. (Med J Indones 2007; 16:78-83).