

Comparación de opciones de tratamiento para los trastornos del ciclo de la urea

Investigador principal

Dr. Nicholas Ah Mew

Organización

Children's Research Institute

¿Cuál fue el tema de la investigación?

Los trastornos del ciclo de la urea son problemas de salud poco frecuentes en los que el cuerpo no puede desechar amoníaco. El amoníaco es una sustancia que el cuerpo produce al descomponer las proteínas de los alimentos. Los trastornos del ciclo de la urea provocan la acumulación de amoníaco en el torrente sanguíneo. Esta acumulación puede producir daños en el cerebro, discapacidad o muerte.

Una manera de tratar estos padecimientos es con control médico. Este tratamiento consiste en una dieta baja en proteínas y en la administración de medicamentos que ayudan al cuerpo a descomponer el amoníaco. Otro tratamiento es el trasplante de hígado.

En este estudio, el equipo investigó las historias clínicas de pacientes que tenían trastornos graves del ciclo de la urea. El equipo quería saber si con el tiempo había habido diferencias en cuanto a la salud entre los pacientes que habían recibido un trasplante de hígado y los que estaban bajo control médico. Además, los investigadores querían ver cómo los familiares y los médicos se habían enfrentado al difícil proceso de decidir entre los dos tratamientos.

¿Cuáles fueron los resultados?

El equipo de investigación no encontró diferencias importantes en cuanto a la supervivencia, la capacidad intelectual ni la calidad de vida entre los pacientes que habían recibido un trasplante de hígado y los que estaban bajo control médico. En los pacientes que se sometieron a un trasplante de hígado con mayor prontitud, el equipo vio una tendencia hacia una vida

familiar de mayor calidad y una mejor capacidad intelectual. Sin embargo, los datos no mostraron estos efectos con absoluta certeza.

En las entrevistas, el equipo de investigación se enteró de que las familias y los médicos habían tenido en cuenta muchos factores personales, sociales y médicos al decidir el tratamiento.

¿Qué hizo el equipo de investigación?

El equipo de investigación revisó los datos clínicos de 187 pacientes con trastornos del ciclo de la urea. Todos fueron hospitalizados a causa de trastornos del ciclo de la urea en los primeros 28 días de vida. El equipo recopiló historias clínicas de una base de datos sobre los trastornos del ciclo de la urea y de pacientes remitidos por los socios del estudio.

Para asegurarse de que en el estudio se analizaran pacientes comparables, el equipo emparejó los pacientes que habían recibido un trasplante de hígado y los que estuvieron bajo control médico, según:

- la década de nacimiento;
- el tipo de trastorno del ciclo de la urea;
- el método de diagnóstico;
- el tipo de síntomas en el momento del diagnóstico;
- la edad que tenían cuando se empezaron a presentar los síntomas;

- la edad que tenían cuando apareció el primer problema de salud causado por el amoníaco y el nivel de amoníaco más alto durante ese problema de salud.

Todos los pacientes que tenían los trastornos del ciclo de la urea más graves recibieron un trasplante de hígado, y todos los que tenían trastornos menos graves estaban bajo control médico. El equipo de investigación excluyó a estos pacientes porque no pudieron emparejarse. El conjunto final de datos incluía a 109 pacientes.

El equipo de investigación también entrevistó a los padres y a los profesionales de la salud para saber cómo habían decidido qué tratamiento usar.

Un grupo integrado por defensores del paciente, investigadores y profesionales de la salud dio sus opiniones durante todo el estudio.

¿Qué limitaciones tuvo el estudio?

La capacidad del equipo de investigación para determinar si los dos grupos eran diferentes se vio limitada por el bajo número de pacientes emparejados del estudio.

En el futuro se podría continuar investigando cómo los tratamientos para los trastornos del ciclo de la urea afectan la salud del paciente.

¿Cómo se pueden usar los resultados?

Los médicos y los pacientes pueden utilizar estos resultados cuando estén considerando el tratamiento de los trastornos del ciclo de la urea.

Si desea más información sobre este proyecto, visite www.pcori.org/AhMew325.