



## RESPUESTA DEL GOBIERNO

### (184) PREGUNTA ESCRITA CONGRESO

184/18098

11/10/2017

50775

**AUTOR/A:** HURTADO ZURERA, Antonio (GS)

#### **RESPUESTA:**

La adrenoleucodistrofia ligada al cromosoma X (ADL-X) es una enfermedad metabólica rara de baja incidencia, estimándose alrededor de 1/20.000 nacimientos.

Se trata de una afección muy poco frecuente en la casuística hospitalaria. No obstante, la cifra de altas que han tenido lugar en los últimos 5 años (2011-2015) en que el paciente tuviera registrado ese diagnóstico ha sido de 274.

Las formas infantiles graves reducen mucho la esperanza de vida de los pacientes, que no suelen superar los 20 años.

El problema de esta enfermedad no deriva de esperar un trasplante de progenitores hematopoyéticos (TPH), si no de realizar la indicación del mismo en el momento apropiado por el equipo médico responsable del caso, dado que el procedimiento puede producir mejoría de la sintomatología, pero con un riesgo de mortalidad entre 25-35%.

Cualquier paciente que precise realizarse un TPH debe poder hacerlo sin espera significativa si las condiciones clínicas del paciente son las adecuadas.

La Organización Nacional de Trasplantes no dispone de registros específicos de TPH en la enfermedad, la actividad se recoge dentro de las Enfermedades Metabólicas de forma global.

Los casos muy seleccionados (en etapas precoces, previo al deterioro neurológico) obtienen tasas de curación alrededor del 65-70%, pero con mortalidades alrededor del 20-35%.

Madrid, 12 de diciembre de 2017