Arch Argent Pediatr. 2026;124(4):e202510712

Calidad de vida en niños con anomalías vasculares complejas tratados con sirolimus: un estudio cuasiexperimental antes-después

Pablo N. Affranchino[1], Mariana Roizen[2], Silvia Caino[1], Natalia Torres Huamani[1], Darío Teplisky[1]

RESUMEN

Introducción. Las anomalías vasculares complejas afectan gravemente la calidad de vida. El sirolimus se utiliza *off-label*, pero la evidencia local sobre su impacto en la calidad de vida relacionada con la salud (CVRS) es limitada.

Objetivo. Evaluar el efecto del tratamiento con sirolimus en pacientes con anomalías vasculares complejas.

Población y métodos. Estudio cuasiexperimental antes-después, de un solo grupo, sin grupo control, realizado en un hospital pediátrico. Se incluyeron pacientes de 4 a 21 años con malformaciones vasculares complejas. La CVRS se midió con el cuestionario PedsQL 4.0 antes de iniciar sirolimus y a los 6 meses. Se registraron características clínicas, presencia e intensidad de dolor y eventos adversos, y se efectuaron análisis multivariados.

Resultados. Se incluyeron 39 pacientes (56,4 % mujeres). Al inicio, se observaron puntuaciones bajas de CVRS. Tras 6 meses de tratamiento, las puntuaciones totales aumentaron de 64,6 (29,34-94,5) a 79,9 (55,43-98,91) en el autoinforme y de 65,2 (27,17-90,62) a 77,2 (46,73-93,47) en cuidadores (p <0,005). El dolor crónico, presente en 21 pacientes (53,8 %), fue el principal factor asociado a peor CVRS basal (−14,4 puntos; IC95% −24,4 a −4,3; p = 0,0065) y disminuyó en el 95 % de los pacientes. Los eventos adversos, observados en el 41 %, fueron leves y no requirieron suspender el tratamiento.

Conclusión. El tratamiento con sirolimus se asoció con una mejoría de la CVRS y del dolor en pacientes pediátricos con anomalías vasculares complejas.

Palabras clave: *vasos linfáticos, anomalías; venas, anomalías; sirolimus; calidad de vida; malformaciones vasculares, tratamiento farmacológico.*

doi (español): http://dx.doi.org/10.5546/aap.2025-10712
doi (inglés): http://dx.doi.org/10.5546/aap.2025-10712.eng

Cómo citar: Affranchino PN, Roizen M, Caino S, Torres Huamani N, Teplisky D. Calidad de vida en niños con anomalías vasculares complejas tratados con sirolimus: un estudio cuasiexperimental antes-después. *Arch Argent Pediatr.* 2026;124(4):e202510712.

[1]Equipo de Anomalías Vasculares; [2]Servicio de Trasplante de Médula Ósea; Hospital de Pediatría S.A.M.I.C. Prof. Dr. Juan P. Garrahan, Ciudad Autónoma de Buenos Aires, Argentina.

Correspondencia para *Pablo N. Affranchino: affranchino@gmail.com*

Financiamiento*: Ninguno.*

Conflicto de Intereses*: Ninguno que declarar.*

Recibido*: 15-12-2025*
Aceptado*: 2-3-2026*

Esta obra está bajo una licencia de Creative Commons Atribución-No Comercial-Sin Obra Derivada 4.0 Internacional.
Atribución — Permite copiar, distribuir y comunicar públicamente la obra. A cambio se debe reconocer y citar al autor original.
No Comercial — Esta obra no puede ser utilizada con finalidades comerciales, a menos que se obtenga el permiso.
Sin Obra Derivada — Si remezcla, transforma o crea a partir del material, no puede difundir el material modificado.

INTRODUCCIÓN

Las anomalías vasculares (AV) comprenden un grupo heterogéneo de enfermedades que incluyen tumores y malformaciones, con una amplia variabilidad clínica, anatómica y genética. Desde la primera clasificación propuesta por la Sociedad Internacional para el Estudio de las Anomalías Vasculares (ISSVA) en 1996, los avances en biología molecular y diagnóstico por imágenes han permitido una mayor precisión en la caracterización de estas entidades y en la comprensión de sus mecanismos fisiopatológicos.[1]

Tradicionalmente, el manejo de las AV complejas se basó en procedimientos quirúrgicos e intervencionistas, con escasas alternativas farmacológicas. En la última década, la identificación de mutaciones somáticas que activan la vía PI3K/Akt/mTOR impulsó el desarrollo de terapias dirigidas, entre ellas el sirolimus, un inhibidor de mTOR que ha demostrado beneficios clínicos en diversas series internacionales.[2-5] Su utilización, aunque *off-label*, se ha consolidado como una opción terapéutica relevante en pacientes seleccionados.

Las anomalías vasculares complejas suelen presentar un curso crónico, con síntomas persistentes como dolor, linforrea, sangrado, infecciones recurrentes o compromiso funcional, que repercuten notablemente en el bienestar físico, emocional y social. En este contexto, la calidad de vida relacionada con la salud (CVRS) se ha vuelto un componente fundamental para evaluar el impacto global de la enfermedad y la respuesta a las intervenciones. Sin embargo, a pesar de la creciente evidencia internacional, la información sobre CVRS en pacientes pediátricos con AV y su evolución tras el tratamiento con sirolimus es escasa en nuestro medio.

En Latinoamérica, el acceso a terapias dirigidas y la oportunidad diagnóstica pueden diferir de los escenarios donde se originan la mayoría de las series publicadas. Estas diferencias pueden influir en la evolución clínica y en la percepción de la calidad de vida. Por ello, contar con datos locales que integren medidas de CVRS resulta relevante para contextualizar el impacto de estas patologías y evaluar la aplicabilidad de la evidencia internacional en nuestra población.

OBJETIVOS

El objetivo principal de este estudio fue evaluar el impacto del tratamiento con sirolimus en la CVRS en pacientes pediátricos con anomalías vasculares complejas. Como objetivos secundarios, se analizaron variables clínicas, la presencia e intensidad del dolor y la aparición de efectos adversos asociados al tratamiento.

POBLACIÓN Y MÉTODOS

Diseño

Estudio cuasiexperimental antes-después, de un solo grupo, sin grupo control.

Población

Se incluyeron de manera consecutiva (muestreo por conveniencia) pacientes de 4 a 21 años atendidos en la clínica interdisciplinaria de anomalías vasculares del Hospital de Pediatría S.A.M.I.C. Prof. Dr. Juan P. Garrahan, de la Ciudad Autónoma de Buenos Aires, Argentina, entre enero de 2017 y octubre de 2023, que iniciaron sirolimus en el marco de la práctica asistencial habitual. La indicación fue establecida por el equipo tratante ante anomalías vasculares complejas con impacto clínico y/o funcional (desfiguración relevante, dolor persistente, linforrea, infecciones recurrentes y/o limitación funcional atribuible a la lesión).

Criterios de exclusión

Se excluyeron pacientes con contraindicación médica para sirolimus (p. ej., insuficiencia renal o hepática grave, dislipemia grave no controlada, inmunodeficiencia no controlada o infección activa significativa), aquellos en quienes no fue posible garantizar un seguimiento ambulatorio seguro con los controles clínicos y bioquímicos requeridos (según evaluación conjunta del equipo tratante y del Servicio Social, por razones de seguridad del paciente) y los casos de rechazo del tratamiento por parte del paciente y/o del adulto responsable cuando correspondiera.

Tamaño muestral

No se realizó un cálculo *a priori* del tamaño de la muestra. Se utilizó un muestreo por conveniencia, incluyendo de manera consecutiva a todos los pacientes elegibles que iniciaron sirolimus durante el período de estudio. La muestra final analizada fue de 39 pacientes.

Intervención

La dosis inicial fue de 0,8 mg/m^2 cada 12 horas, en comprimidos o suspensión oral. Se realizaron controles de niveles plasmáticos de sirolimus a los 15 y a los 30 días, y luego cada

tres meses, con el objetivo de mantener valores entre 5 ng/ml y 12 ng/ml. La duración mínima del tratamiento fue de 6 meses.

Variables analizadas

Edad, sexo, tipo y localización de la anomalía vascular (según clasificación ISSVA 2018), antecedentes de traqueostomía o cirugías previas, presencia e intensidad del dolor (escala de Wong-Baker) y CVRS.

Definiciones operativas (criterios de indicación)

La indicación de sirolimus se realizó por criterio asistencial con el objetivo clínico de mejorar la calidad de vida. Para ello, se consideró la presencia de impacto clínico/funcional atribuible a la anomalía vascular, definido operativamente como síntomas persistentes o progresivos y/o carga asistencial con repercusión en actividades de la vida diaria, evaluados por el equipo interdisciplinario en la entrevista inicial con el paciente y su familia. Este impacto incluyó, según el caso, dolor, sangrado y/o linforrea, infecciones recurrentes, compromiso funcional del órgano afectado (p. ej., marcha/movilidad o alimentación/deglución), y repercusión psicosocial.

Instrumentos

La CVRS se midió mediante el *Pediatric Quality of Life Inventory*™ (PedsQL™) 4.0 *Generic Core Scales*, versión en español para Argentina (autoinforme según edad y reporte de cuidadores), que evalúa dominios físico, emocional, social y escolar. Las puntuaciones se transformaron a una escala 0-100 (valores mayores indican mejor CVRS). Para la administración y el análisis por subgrupos del PedsQL, se utilizaron las categorías etarias del instrumento. Los 4 pacientes de 19 a 21 años fueron evaluados con la versión de 13–18 años e incluidos en esa categoría en el análisis estratificado. Dicho instrumento se utilizó conforme a sus condiciones de uso y con autorización gestionada a través del sistema de distribución ePROVIDE (*Mapi Research Trust*) para la versión en español (Argentina).[6-8]

Para la evaluación del dolor, se utilizó la escala de Wong-Baker en pacientes mayores de 5 años.

Metodología

La administración de instrumentos fue realizada por el mismo operador en todos los casos, en entrevistas independientes con niños y cuidadores. Se utilizó una base de datos unificada con recolección prospectiva y análisis retrospectivo.

Análisis estadístico

En la fase descriptiva, se calcularon porcentajes, medias, medianas y rangos según el tipo de variable. En la fase analítica, se realizaron pruebas de chi-cuadrado, de la *t* de Student o de Wilcoxon según la distribución, y análisis multivariado mediante regresión lineal. Se utilizó la prueba de rangos con signo de Wilcoxon para comparar puntuaciones de CVRS antes y después del tratamiento.

El reporte del estudio se redactó siguiendo la guía TREND (*Transparent Reporting of Evaluations with Nonrandomized Designs*) para estudios cuasiexperimentales no aleatorizados. Se incorporó un diagrama de flujo de participantes según TREND (*Figura 1*).

Aspectos éticos

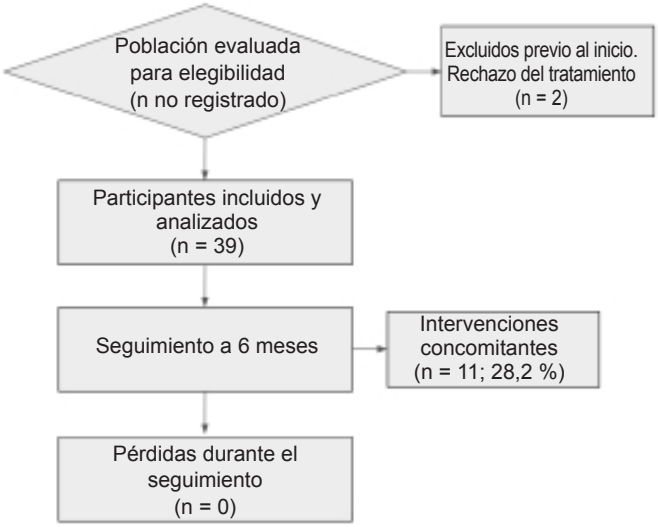
Protocolo aprobado por el comité institucional del Hospital Garrahan. Se exceptuó el consentimiento informado por tratarse de un estudio observacional basado en la práctica clínica habitual, donde el uso de sirolimus respondió a criterios asistenciales ajenos a la investigación. Los datos se analizaron de forma anónima, respetando la Declaración de Helsinki y la normativa vigente de protección de datos personales.

RESULTADOS

La *Figura 1* presenta el diagrama de flujo de participantes (evaluados, incluidos y analizados) conforme a la guía TREND.

Las características basales de la población se detallan en la *Tabla 1*. Se incluyeron 39 pacientes, con una mediana de edad de 12 años (rango 4-21); el 56,4 % eran mujeres. Los diagnósticos por orden de frecuencia fueron el espectro de síndromes de sobrecrecimiento relacionado con PIK3CA (PROS) (28,3 %), malformaciones venolinfáticas (20,5 %), malformaciones linfáticas (20,5 %), anomalía vascular fibroadiposa (12,8 %), malformaciones venosas (7,7 %), enfermedad de Gorham-Stout (5,1 %), anomalía linfática generalizada (2,6 %) y linfangiomatosis kaposiforme (2,6 %). Las localizaciones más comunes fueron las extremidades inferiores (33,3 %), cabeza y cuello (30,7 %), tronco (20,5 %), lesiones

Figura 1. Diagrama de flujo de participantes (*Transparent Reporting of Evaluations with Nonrandomized Designs* [TREND])



Nota: Dado el carácter asistencial del estudio, no se contó con un registro sistemático del total de pacientes evaluados que no iniciaron tratamiento (p. ej., por indicación clínica alternativa o dificultades de acceso).

Tabla 1. Características basales de los pacientes

Características de la población	n = 39	%
Hombre/mujer	17/22	43,6/56,4
Mediana de edad (rango)	12 (4-21)	
Edad al ingreso: 4	3	7,7
5-7	8	20,5
8-12	13	33,3
13-18*	15	38,5
Diagnóstico:		
Espectro PROS	11	28,3
Malformaciones venolinfáticas	8	20,5
Malformaciones linfáticas	8	20,5
FAVA	5	12,8
Malformaciones venosas	3	7,7
Gorham-Stout	2	5,1
Anomalía linfática generalizada	1	2,6
Linfangiomatosis kaposiforme	1	2,6
Localización primaria:		
Extremidad inferior	13	33,3
Cabeza y cuello	12	30,7
Tronco	8	20,5
Generalizada	4	10,2
Extremidad superior	2	5,1
Dolor crónico	21	46,2
Intensidad del dolor. Mediana(rango)	8 (2-10)	
Traqueostomía	6	15,4
Escleroterapia previa	19	48,7
Cirugía previa	15	38,5

Los diagnósticos se clasificaron según la ISSVA 2018.[1]

** Incluye 4 pacientes de 19 a 21 años, evaluados con la versión de 13–18 años del PedsQL para el análisis por subgrupos.*

FAVA: anomalía vascular fibroadiposa; PROS: síndromes de sobrecrecimiento relacionado con PIK3CA.

Tabla 2. Comparación de las puntuaciones PedsQL 4.0 en niños sanos, otras enfermedades crónicas y anomalías vasculares (AV)

Autoinforme	Sanos	TMO	EPOC	VIH	Cáncer	ERC	Cardiopatía	AV
Total	72,72 (14,21)	71,64 (17,13)	58,54 (15,8)	71,31 (17,07)	65,16 (15,45)	65,29 (19,96)	68,98 (15,22)	64,56 (29,34-94,5)
Físico	75,42 (15,93)	74,24 (17,08)	58,16 (19,84)	74,58 (18,05)	60,98 (19,44)	67,17 (1,32)	72,03 (15,84)	60,94 (9,3-100)
Psicosocial	71,20 (14,84)	70,10 (18,51)	58,76 (16,43)	69,52 (17,69)	67,57 (6,46)	64,07 (7,45)	67,32 (7,04)	69,16 (31,6–93,3)

TMO: trasplante de médula ósea; EPOC: enfermedad pulmonar obstructiva crónica; VIH: virus de la inmunodeficiencia humana; ERC: enfermedad renal crónica; AV: anomalías vasculares.
Nota: Los valores correspondientes a las enfermedades crónicas y a los niños sanos fueron tomados del trabajo de validación del instrumento en Argentina: Roizen M, Rodríguez S, Bauer G, et al. Initial validation of the Argentinean Spanish version of the PedsQL 4.0 Generic Core Scales in children and adolescents with chronic diseases. Health Qual Life Outcomes. 2008;6:59. Se incorporaron en la última columna los valores de CVRS obtenidos en nuestra cohorte (anomalías vasculares) para su comparación con los grupos del estudio original.

generalizadas (10,2 %) y extremidades superiores (5,1 %). El 15,4 % de los pacientes presentaba traqueostomía; el 48,7 % había recibido escleroterapia previamente y el 38,5 % había sido sometido a cirugía previa.

Al inicio del seguimiento, la mediana de la puntuación total de CVRS fue de 64,56 (rango 29,34-94,5) en el autoinforme y de 65,21 (rango 27,17-90,62) en el informe de cuidadores (*Tabla 2*). En el análisis univariado, la presencia de dolor crónico al inicio se asoció significativamente con una peor CVRS basal (p = 0,01), mientras que la localización de la lesión, el sexo, la traqueostomía y las intervenciones previas no mostraron asociaciones significativas. En el análisis multivariado, el dolor crónico al inicio se mantuvo asociado de forma independiente con una peor CVRS basal, con una disminución promedio de 14,4 puntos en el puntaje total de PedsQL (IC95% −24,4 a −4,3; p = 0,0065), luego de ajustar por estas variables.

Luego de 6 meses de tratamiento con sirolimus, las puntuaciones de CVRS aumentaron a 79,89 (rango 55,43-98,91) en el autoinforme y 77,17 (rango 46,73-93,47) en el informe de cuidadores (p <0,005 en ambos casos), sin diferencias significativas entre subgrupos de edad (*Tabla 3*).

En relación con el síntoma dolor, 21 de los 39 pacientes (53,8 %) reportaron dolor crónico al inicio, con una intensidad mediana de 8 en una escala de 0 a 10. Luego de 6 meses de sirolimus, el dolor disminuyó en el 95 % de los pacientes sintomáticos.

En 13 de los 21 pacientes hubo resolución completa del dolor y en 8 persistió dolor residual de menor intensidad. (*Figura 2*).

Se observaron efectos adversos en el 41 % de los pacientes. Los eventos registrados incluyeron aftas orales, cefalea, leucopenia y diarrea. Todos fueron autolimitados y no requirieron la suspensión definitiva del tratamiento. En 11 pacientes (28,2 %) fue necesario combinar sirolimus con procedimientos quirúrgicos u otras intervenciones.

DISCUSIÓN

Los resultados del presente estudio muestran que los pacientes con anomalías vasculares complejas incluidos en esta serie presentaron una calidad de vida relacionada con la salud (CVRS) marcadamente comprometida al inicio del tratamiento.

En la evaluación basal, las puntuaciones de CVRS (PedsQL total) fueron inferiores a las reportadas en población pediátrica sana del mismo hospital (media 72,72; DE 14,21) y comparables a las reportadas en otras condiciones crónicas complejas seguidas en la institución, como trasplante de médula ósea (media 71,64; DE 17,13), enfermedad pulmonar obstructiva crónica (EPOC) (media 58,54; DE 15,80), virus de la inmunodeficiencia humana (VIH) (media 71,31; DE 12,37), cáncer (media 65,16; DE 16,55), enfermedad renal crónica (media 65,29; DE 19,96) y cardiopatías congénitas (media 68,98; DE 15,22) (*Tabla 2*). Esta comparación interna, realizada utilizando la base institucional empleada para la validación argentina del PedsQL, refuerza el elevado impacto funcional, psicológico y social que

Tabla 3. Calidad de vida relacionada con la salud antes y después de la administración de sirolimus

	Basal			A 6 meses de tratamiento			Valor *p*
Autoinforme							
Edad	**Total**	**Físico**	**Psicosocial**	**Total**	**Físico**	**Psicosocial**	
Todas las edades	(n 34) 64,56 29,34-94,5	(n 34) 60,94 9,3-100	(n 34) 69,16 31,66-93,3	(n 28) 79,89 55,43-98,91	(n 28) 87,5 53,12-100	(n 28) 80 55-95	<0,005
5-7	(n 6) 61,23 52,17-83,69	(n 6) 68,75 43,75-90,62	(n 6) 61,66 51,66-80	(n 5) 87,5 66,3-98,91	(n 5) 90 87,5-100	(n 5) 86,66 55-95	0,06
8-12	(n 13) 67,39 39,9-94,5	(n 13) 71,87 31,25-100	(n 13) 71,6 32,5-91,66	(n 9) 79,34 73,91-93,47	(n 9) 84,37 62,5-100	(n 9) 80 71,76-90	<0,005
13-18*	(n 15) 65 29,34-89,13	(n 15) 59,37 9,3-90,62	(n 15) 68,33 31,66-93,3	(n 14) 77,72 55,43-93,47	(n 14) 82,81 53,12-100	(n 14) 79,13 56,66-91,66	<0,005
Cuidadores							
Edad	**Total**	**Físico**	**Psicosocial**	**Total**	**Físico**	**Psicosocial**	
Todas	(n 39) 65,21 27,17-90,62	(n 39) 68,75 12,5-100	(n 39) 63,87 35-95	(n 32) 77,17 46,73-93,47	(n 32) 87,5 34,37-100	(n 32) 78,33 45-93,33	<0,005
2-4	(n 3) 68,75 59,7-69,56	(n 3) 53,12 50-55	(n 3) 65,7 59,78-78,33	(n 3) 86,9 72,82-86,9	(n 3) 96,8 62,5-96,8	(n 3) 80,7 78,33-80,7	0,25
5-7	(n 8) 63,03 55,55-82,6	(n 8) 75 43,75-84,37	(n 8) 63,33 48,33-81,66	(n 7) 82,6 65,21-89,13	(n 7) 87,5 78,12-96,87	(n 7) 78,33 53,33-85	<0,005
8-12	(n 13) 63,04 39,13-88,04	(n 13) 75 15,2-100	(n 13) 63,33 38,33-85	(n 9) 77,17 46,73-86,95	(n 9) 87,5 34,37-96,8	(n 9) 78,33 50-81,66	<0,005
13-18	(n 15) 65,21 27,17-90,62	(n 15) 65,62 12,5-93,75	(n 15) 61,66 35-95	(n 13) 76,08 48,91-93,47	(n 13) 81,25 56,25-100	(n 13) 71,66 45-93,33	<0,005

Nota: Puntuaciones del cuestionario PedsQL 4.0 obtenidas antes (T1) y después (T2) de 6 meses de tratamiento con sirolimus, según autoinforme de pacientes y reporte de cuidadores, desagregadas por grupo etario. Se incluyen puntuaciones totales, físicas y psicosociales. El análisis estadístico se realizó mediante la prueba de Wilcoxon Signed-Rank. El instrumento utilizado corresponde a la versión validada en Argentina por Roizen et al. (2008).[9]

**Para el análisis por subgrupos etarios del PedsQL, los 4 pacientes de 19 a 21 años fueron incluidos en la categoría 13–18 años, por corresponder a la versión del instrumento utilizada.*

generan estas condiciones en la infancia.[9]

La muestra analizada incluyó pacientes con malformaciones extensas, dolor crónico, compromiso funcional y múltiples intervenciones previas, lo que explica, en parte, las bajas puntuaciones basales de CVRS.

Tras 6 meses de tratamiento con sirolimus, se observó una mejoría clínicamente relevante de la CVRS tanto en el autoinforme como en el reporte de cuidadores. La magnitud del incremento en la puntuación total (≈12 - 15 puntos) supera ampliamente los umbrales publicados como diferencia mínima clínicamente importante para el PedsQL en poblaciones pediátricas, lo que sugiere un cambio perceptible y significativo para pacientes y familias.[10] La mejoría fue homogénea en los dominios físico y psicosocial, y no mostró variaciones relevantes según el grupo etario. Estos hallazgos coinciden con estudios previos que han documentado beneficios clínicos y funcionales del sirolimus en malformaciones vasculares, incluidas reducciones del volumen

lesional, control de linforrea, mejoría funcional y disminución del riesgo de complicaciones.[3-5]

El dolor se identificó como el principal determinante de la CVRS basal. En el análisis univariado, se asoció con una peor calidad de vida, y esta asociación se mantuvo en el análisis multivariado luego de ajustar por localización de la lesión, sexo, traqueostomía e intervenciones previas, reforzando su rol como marcador clínico relevante de mayor carga de enfermedad.

Desde el punto de vista clínico, la reducción del dolor observada tras el tratamiento puede haber sido uno de los principales contribuyentes a la mejoría global de la CVRS, dada su influencia sobre la movilidad, las actividades diarias, la participación escolar y social, el sueño y el bienestar emocional. En este sentido, una intervención que disminuye el dolor persistente puede traducirse en beneficios simultáneos en los componentes físico y psicosocial de la CVRS, coherentes con el patrón de mejoría observado en pacientes y cuidadores.

En relación con la seguridad, los eventos adversos observados fueron leves, autolimitados y manejables, sin requerir la suspensión definitiva del tratamiento. Este perfil de seguridad coincide con la evidencia internacional y respalda la utilización de sirolimus en contextos de práctica real, especialmente dentro de equipos interdisciplinarios especializados.

En un número considerable de casos, el sirolimus se utilizó como parte de un enfoque terapéutico combinado, actuando como complemento a intervenciones como escleroterapia o cirugía. Esta estrategia permitió optimizar las condiciones clínicas antes de los procedimientos y mejorar la funcionalidad posterior. En la práctica cotidiana, el sirolimus no reemplaza a las terapias intervencionistas, sino que las potencia al mejorar el control del dolor, reducir inflamación y estabilizar la progresión de la enfermedad.

El uso del PedsQL 4.0, validado en Argentina y administrado de manera estandarizada, permitió evaluar la percepción de salud en múltiples dominios y comparar el impacto de estas patologías con el de otras cohortes pediátricas del mismo hospital. Este enfoque representa un aporte relevante, ya que los estudios sobre anomalías vasculares suelen centrarse en parámetros anatómicos o volumétricos, mientras que la CVRS constituye un indicador más sensible para captar cambios clínicamente significativos en la vida cotidiana.

Nuestros resultados son similares a los reportados en publicaciones internacionales, que también muestran mejoría clínica, funcional y de calidad de vida en pacientes con anomalías vasculares complejas tratados con sirolimus, tanto en cohortes pediátricas como en adultos.[3,4] La coherencia entre los hallazgos locales y los estudios internacionales refuerza la consistencia del efecto observado y aporta validez externa a nuestra experiencia.

Este estudio presenta limitaciones inherentes a su diseño antes-después, el cual no permite establecer relaciones causales definitivas entre la intervención y los cambios observados. La ausencia de un grupo control, el carácter monocéntrico y la heterogeneidad diagnóstica deben ser considerados al interpretar los resultados.

A pesar de estas limitaciones, la mejoría en CVRS y la concordancia entre autoinforme y reporte de cuidadores refuerzan la relevancia clínica de los hallazgos y respaldan la utilidad del sirolimus como parte de un enfoque terapéutico integral en esta población. Si bien este trabajo se centró en CVRS y dolor, en la práctica asistencial se observaron mejorías concomitantes en otros componentes clínicos (p. ej., reducción de linforrea, sangrado, infecciones y repercusión funcional), que probablemente contribuyeron al beneficio percibido por pacientes y familias, y deberían evaluarse en futuros estudios.

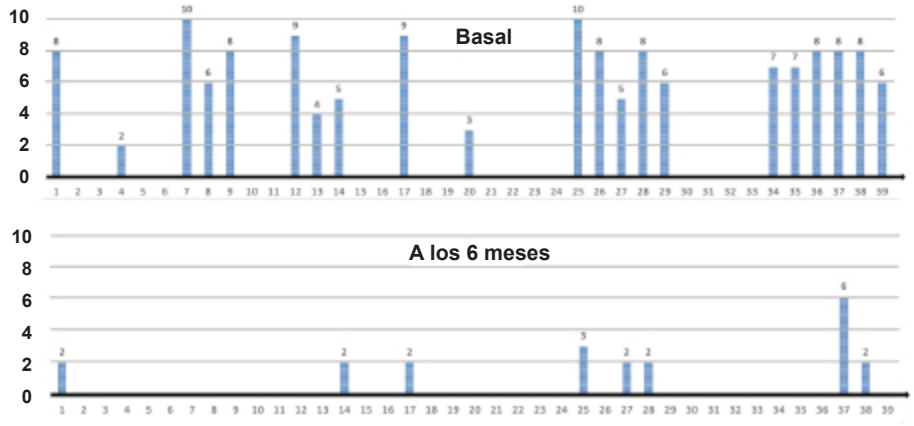
CONCLUSIÓN

En la muestra analizada, los pacientes con anomalías vasculares complejas presentaron puntajes bajos de CVRS (PedsQL) en todos los dominios, tanto en el autoinforme como en el reporte de cuidadores. El dolor se asoció con peores puntuaciones basales. Tras 6 meses de tratamiento con sirolimus, la calidad de vida y el dolor crónico mejoraron de forma significativa, sin eventos adversos graves, lo que sugiere su utilidad como opción terapéutica dentro de un abordaje interdisciplinario. ■

REFERENCIAS

1. International Society for the Study of Vascular Anomalies. ISSVA Classification for Vascular Anomalies 2018. [Consulta: 2 de enero de 2026]. Disponible en: https://www.issva.org/classification
2. Hammill AM, Wentzel M, Gupta A, Nelson S, Lucky A, Elluru R, et al. Sirolimus for the treatment of complicated vascular anomalies in children. *Pediatr Blood Cancer*. 2011;57(6):1018-24. doi:10.1002/pbc.23124.
3. Adams DM, Trenor 3rd CC, Hammill AM, Vinks AA, Patel MN, Chaudry G, et al. Efficacy and Safety of Sirolimus in the

Figura 2. Dolor crónico antes y después de la administración de sirolimus



Puntaje de dolor utilizando la escala de Wong-Baker (el número 0 es ningún dolor y el número 10, el mayor dolor posible). El eje x corresponde a la intensidad y, en el eje y, se detallan las puntuaciones de cada paciente individual. Obsérvese la puntuación basal y a los 6 meses de tratamiento con sirolimus en los 39 pacientes incluidos en la investigación.

Treatment of Complicated Vascular Anomalies. *Pediatrics*. 2016;137(2):e20153257. doi:10.1542/peds.2015-3257.

4. Seront E, Van Damme A, Legrand C, Bisdorff-Bresson A, Orcel P, Funck-Brentano T, et al. Preliminary results of the European multicentric phase III trial regarding sirolimus in slow-flow vascular malformations. *JCI Insight*. 2023;8(21):e173095. doi:10.1172/jci.insight.173095.
5. Adams DM, Ricci KW. Vascular anomalies: diagnosis of complicated anomalies and new medical treatment options. *Hematol Oncol Clin North Am*. 2019;33(3):455-70. doi: 10.1016/j.hoc.2019.01.011.
6. Roizen M, Rodríguez S, Bauer G, Medin G, Bevilacqua S, Varni JW, et al. Initial validation of the Argentinean Spanish version of the PedsQL 4.0 Generic Core Scales in children and adolescents with chronic diseases: Acceptability and comprehensibility in low-income setting. *Health Qual Life Outcomes*. 2008;6:59. doi:10.1186/1477-7525-6-59.
7. Varni JW, Seid M, Kurtin PS. PedsQL 4.0: reliability and validity of the Pediatric Quality of Life Inventory version 4.0 generic core scales in healthy and patient populations. *Med Care*. 2001;39(8):800-12. doi: 10.1097/00005650-200108000-00006.
8. PedsQL™. Conditions of Use. [Consulta: 2 de enero de 2026]. Disponible en: https://www.pedsql.org/conditions.html
9. Wolf MV, Moresco AA, Fano V, Caino S. Clínica, auxología y calidad de vida en cincuenta niños, niñas y adolescentes con síndromes de sobrecrecimiento corporal segmentario de un único centro. *Arch Argent Pediatr*. 2023;121(6):e202303017. doi: 10.5546/aap.2023-03017.
10. Varni JW, Burwinkle TM, Seid M, Skarr D. The PedsQL™ 4.0 as a pediatric population health measure: feasibility, reliability, and validity. *Ambul Pediatr*. 2003;3(6):329-41. doi: 10.1367/1539-4409(2003)003<0329:tpaapp>2.0.co;2.