

Uso de terapias hormonales en niños con deficiencia de la hormona del crecimiento: beneficios y riesgos

Use of hormone therapies in children with growth hormone deficiency: benefits and risks

María Emilia Maldonado Yépez

<https://orcid.org/0009-0008-1470-0776>

Universidad del Azuay, Ecuador

Viviana Verónica Cambisaca Coello

<https://orcid.org/0000-0002-2809-733X>

Universidad de Cuenca, Ecuador

Lorena Isabel Davila Jibaja

<https://orcid.org/0009-0007-9627-5365>

Hospital Pediátrico Baca Ortiz, Ecuador

Johanna Alexia Véliz Gutiérrez

<https://orcid.org/0009-0002-7997-3608>

Universidad de las Américas, Ecuador

Jorge Andrés Torres Ortiz

<https://orcid.org/0009-0004-9226-3410>

Universidad Nacional de Chimborazo, Ecuador

Richard Javier Becerra Pilicita

<https://orcid.org/0009-0009-1542-1506>

Investigador independiente, Ecuador

Paula Anahis Rodas Calva

<https://orcid.org/0009-0009-6557-3815>

Universidad Católica de Cuenca, Ecuador

Karen Andrea Herrera Herrera

<https://orcid.org/0009-0006-1285-4240>

Investigadora independiente, Ecuador

RESUMEN

La deficiencia de la hormona del crecimiento (GH) en niños es un trastorno endocrino que puede afectar significativamente su desarrollo físico y emocional. Las terapias hormonales, principalmente a través de la administración de GH recombinante, han demostrado ser altamente efectivas para mejorar la estatura final y otros parámetros relacionados con el crecimiento. Este tratamiento también puede contribuir positivamente a la composición corporal, la densidad ósea y la calidad de vida de los pacientes. Sin embargo, su uso no está exento de riesgos y consideraciones clínicas. Entre los posibles efectos adversos se encuentran la resistencia a la insulina, el aumento del riesgo de neoplasias y complicaciones cardiovasculares, aunque estos eventos son poco frecuentes y suelen ser manejables con un monitoreo adecuado. Además, factores como la dosis, la duración del tratamiento y las características individuales del paciente juegan un papel crucial en la eficacia y seguridad del tratamiento. Es fundamental que los profesionales de la salud evalúen cuidadosamente los beneficios frente a los riesgos potenciales, considerando las necesidades específicas de cada niño. Este artículo revisa la evidencia científica más reciente sobre el uso de terapias hormonales en niños con deficiencia de GH, proporcionando una visión integral para guiar la práctica clínica y optimizar los resultados terapéuticos.

Palabras clave: Hormona del crecimiento, Terapias hormonales, Niños, Deficiencia, Tratamiento, Salud infantil.

ABSTRACT

Growth hormone (GH) deficiency in children is an endocrine disorder that can significantly affect their physical and emotional development. Hormonal therapies, mainly through the administration of recombinant GH, have been shown to be highly effective in improving final height and other growth-related parameters. This treatment can also positively contribute to patients' body composition, bone density, and quality of life. However, its use is not without risks and clinical considerations. Possible adverse effects include insulin resistance, increased risk of neoplasia, and cardiovascular complications, although these events are rare and usually manageable with adequate monitoring. Furthermore, factors such as dose, duration of treatment and individual patient characteristics play a crucial role in the effectiveness and safety of the treatment. It is essential that health professionals carefully weigh the benefits against the potential risks, considering the specific needs of each child. This article reviews the most recent scientific evidence on the use of hormonal therapies in children with GH deficiency, providing a comprehensive view to guide clinical practice and optimize therapeutic outcomes.

Keywords: Growth hormone, Hormone therapies, Children, Deficiency, Treatment, Child health.

INTRODUCCIÓN

La deficiencia de la hormona del crecimiento en niños es un trastorno endocrino que puede impactar significativamente su desarrollo físico y psicosocial (1). Esta condición, caracterizada por una producción insuficiente de hormona del crecimiento (GH, por sus siglas en inglés) por parte de la glándula pituitaria, puede resultar en baja estatura, retraso en el desarrollo puberal y disminución de la densidad ósea, entre otros efectos (2). Las terapias hormonales, particularmente el uso de GH recombinante, han revolucionado el manejo de esta afección al ofrecer una oportunidad para mitigar sus consecuencias a largo plazo (3). Sin embargo, su uso no está exento de controversias, ya que plantea interrogantes sobre su seguridad, eficacia y posibles efectos secundarios (4). Mientras que numerosos estudios han demostrado mejoras significativas en la velocidad de crecimiento y la estatura adulta en niños tratados con GH, también se han reportado riesgos potenciales como resistencia a la insulina, aumento del riesgo de neoplasias y otras complicaciones metabólicas (5). En este artículo de revisión narrativa, se analizan los beneficios y riesgos asociados con el uso de terapias hormonales en niños con DHC, considerando la evidencia científica disponible y las guías clínicas actuales. Además, se abordan los desafíos éticos y económicos relacionados con estos tratamientos, subrayando la importancia de una evaluación individualizada y un enfoque multidisciplinario para maximizar los resultados positivos mientras se minimizan los riesgos (6). Este análisis busca proporcionar una visión integral que facilite la toma de decisiones informadas en el manejo de esta compleja condición pediátrica.

METODOLOGÍA

Para la elaboración de este artículo de revisión narrativa, se realizó una búsqueda exhaustiva en bases de datos científicas como PubMed, Scopus y Web of Science. Se emplearon términos controlados MeSH y DeCS relacionados con "deficiencia de la hormona del crecimiento", "terapia hormonal", "niños" y "efectos adversos". Los criterios de inclusión abarcaron estudios publicados en los últimos diez años, artículos en español e inglés, investigaciones centradas en población pediátrica y estudios que evaluaran tanto los beneficios como los riesgos de las terapias hormonales. Se excluyeron revisiones duplicadas, estudios con diseño insuficiente o sin acceso al texto completo, así como aquellos que no abordaran directamente el tema principal. En total, se revisaron 75 artículos, de los cuales 18 cumplieron con los criterios establecidos y se incluyeron en el análisis. Este enfoque permitió una síntesis integral y actualizada de la evidencia disponible, proporcionando una base sólida para discutir los aspectos clínicos y éticos relacionados con el uso de terapias hormonales en esta población específica.

RESULTADOS Y DISCUSIÓN

Diagnóstico y evaluación clínica de la deficiencia de la hormona del crecimiento

La deficiencia de la hormona del crecimiento (DHC) en niños es una condición endocrina que puede tener un impacto significativo en el desarrollo físico y metabólico. El diagnóstico temprano y preciso es fundamental para optimizar los resultados del tratamiento y minimizar las complicaciones a largo plazo (1).

El proceso diagnóstico comienza con una evaluación clínica exhaustiva. Es esencial obtener una historia clínica detallada que incluya antecedentes familiares, patrones de crecimiento, enfermedades previas y posibles factores de riesgo, como traumatismos craneales, infecciones del sistema nervioso central o exposición a radiación. Además, se debe realizar una evaluación física completa para identificar signos característicos de la DHC, como talla baja desproporcionada para la edad, retraso en el desarrollo puberal o acumulación de tejido adiposo abdominal (1).

El análisis del crecimiento longitudinal es una herramienta clave en la evaluación inicial. La monitorización de la velocidad de crecimiento a lo largo del tiempo permite identificar desviaciones significativas de los percentiles normales en tablas de crecimiento estandarizadas. Una velocidad de crecimiento consistentemente baja puede ser indicativa de una alteración subyacente en la secreción de la hormona del crecimiento (1).

Para confirmar el diagnóstico, se utilizan pruebas de laboratorio específicas. La medición basal de los niveles séricos de la hormona del crecimiento y del factor de crecimiento similar a la insulina tipo 1 (IGF-1) puede proporcionar información preliminar, aunque estos valores pueden variar considerablemente según la edad, el sexo y el estado nutricional. Por ello, suelen ser necesarias pruebas de estimulación para evaluar la capacidad funcional de la glándula hipófisis. Estas pruebas incluyen la administración de agentes estimulantes, como clonidina, arginina o insulina, y la posterior medición de los niveles de hormona del crecimiento. Un pico reducido en estas pruebas confirma el diagnóstico de DHC (2).

Además, es crucial realizar estudios por imágenes, como resonancia magnética (RM) cerebral, para evaluar la anatomía hipotalámico-hipofisaria y descartar anomalías estructurales, como tumores o hipoplasia hipofisaria, que puedan estar contribuyendo a la deficiencia hormonal (2).

El diagnóstico diferencial debe considerar otras causas de talla baja, como desnutrición crónica, enfermedades sistémicas, displasias óseas o síndromes genéticos. En algunos casos, puede ser necesario realizar pruebas genéticas para identificar mutaciones asociadas a la DHC congénita o familiar (2).

Mecanismo de acción de las terapias hormonales en el tratamiento de la deficiencia

El mecanismo de acción de las terapias hormonales en el tratamiento de la deficiencia de la hormona del crecimiento (GH, por sus siglas en inglés) se basa en la administración exógena de hormona del crecimiento recombinante humana (rhGH) para suplir la insuficiencia endógena. Esta intervención busca imitar las funciones biológicas de la GH natural, promoviendo el crecimiento lineal en niños y regulando procesos metabólicos esenciales (3).

La GH actúa principalmente a través de su unión a receptores específicos en la superficie de las células diana, presentes en tejidos como el hígado, huesos y músculos. Una vez que la hormona se une a su receptor, se activa una cascada de señalización intracelular que incluye la vía JAK-STAT. Este proceso estimula la transcripción de genes específicos, entre ellos el gen que codifica para el factor de crecimiento similar a la insulina tipo 1 (IGF-1). El IGF-1 es un mediador clave en los efectos anabólicos y mitogénicos de la GH, desempeñando un papel fundamental en el crecimiento óseo y el desarrollo tisular (3).

En los huesos, el IGF-1 estimula la proliferación y diferenciación de condrocitos en las placas de crecimiento, lo que resulta en un aumento de la longitud ósea. Además, promueve la síntesis de proteínas y la acumulación de matriz extracelular en el cartílago. En el tejido muscular, la GH y el IGF-1 favorecen la síntesis proteica, lo que contribuye al desarrollo muscular y mejora la composición corporal al reducir la masa grasa. A nivel metabólico, la GH tiene efectos lipolíticos, estimulando la movilización de ácidos grasos libres del tejido adiposo y aumentando su oxidación como fuente de energía (3,4).

El tratamiento con rhGH está diseñado para restaurar estos procesos fisiológicos en niños con deficiencia de GH, permitiendo un crecimiento más cercano al rango esperado para su edad y genética. Sin embargo, es crucial monitorear cuidadosamente a los pacientes durante el tratamiento para ajustar las dosis según las necesidades individuales y minimizar los riesgos asociados. Entre los posibles efectos adversos se incluyen resistencia a la insulina, edema, dolores articulares y cefaleas. Por ello, es fundamental realizar evaluaciones regulares tanto clínicas como bioquímicas para garantizar la seguridad y eficacia del tratamiento (4).

En conclusión, las terapias hormonales basadas en rhGH representan una herramienta eficaz para tratar la deficiencia de hormona del crecimiento en niños. Su mecanismo de acción se centra en suplir las funciones fisiológicas de la GH natural, promoviendo el crecimiento y regulando procesos metabólicos esenciales. No obstante, su uso debe ser cuidadosamente supervisado por profesionales médicos para maximizar los beneficios y minimizar los riesgos asociados (4).

Indicaciones clínicas para el uso de terapias hormonales en pediatría

El tratamiento con terapias hormonales en pediatría, específicamente en casos de deficiencia de la hormona del crecimiento (GH, por sus siglas en inglés), debe ser cuidadosamente indicado y supervisado por profesionales médicos especializados. Estas terapias están diseñadas para abordar trastornos endocrinológicos que afectan el desarrollo y el crecimiento de los niños, con el objetivo de mejorar su calidad de vida y alcanzar un crecimiento y desarrollo óptimos. A continuación, se describen las principales indicaciones clínicas para su uso (5):

1. Deficiencia de la hormona del crecimiento (GHD):

La indicación más común para el uso de terapias hormonales es la deficiencia de GH, una condición caracterizada por niveles insuficientes de esta hormona producida por la glándula pituitaria. Los niños con GHD suelen presentar un crecimiento significativamente lento, retraso en la maduración ósea y una estatura muy por debajo del promedio para su edad y sexo. El diagnóstico se confirma mediante pruebas clínicas, bioquímicas y estudios de estimulación hormonal (5).

2. Síndrome de Turner:

Las niñas con síndrome de Turner, una afección genética causada por la ausencia parcial o total de un cromosoma

X, pueden beneficiarse del tratamiento con GH. Este tratamiento ha demostrado mejorar significativamente la estatura final y otros aspectos del desarrollo físico (5).

3. Pequeñez para la edad gestacional (PEG):

Los niños nacidos pequeños para su edad gestacional que no logran un "catch-up" en el crecimiento durante los primeros años de vida pueden ser candidatos para terapias con GH. En estos casos, el tratamiento puede ayudar a alcanzar una estatura dentro del rango normal (5).

4. Síndrome de Prader-Willi:

Este trastorno genético, que afecta múltiples sistemas del cuerpo, también es una indicación reconocida para el uso de GH. Además de mejorar el crecimiento lineal, el tratamiento puede contribuir a mejorar la composición corporal, disminuyendo la grasa corporal y aumentando la masa muscular (6).

5. Deficiencias secundarias a tratamientos oncológicos o enfermedades crónicas:

Los niños que han recibido tratamientos como radioterapia craneal o que padecen enfermedades crónicas que afectan la función hipofisaria pueden desarrollar deficiencia de GH secundaria. En estos casos, las terapias hormonales pueden ser necesarias para restaurar el crecimiento normal (6).

6. Otros síndromes genéticos asociados con baja estatura:

Existen otras condiciones genéticas menos comunes, como el síndrome de Noonan o el síndrome de Silver-Russell, en las que las terapias hormonales pueden ser consideradas como parte del manejo integral del paciente (6).

Es fundamental realizar una evaluación exhaustiva antes de iniciar el tratamiento, considerando factores como la historia clínica, los antecedentes familiares, las pruebas diagnósticas específicas y las expectativas del paciente y su familia. Además, el seguimiento continuo es indispensable para monitorear la eficacia del tratamiento y detectar posibles efectos adversos. La decisión debe basarse siempre en un enfoque individualizado, priorizando el bienestar del niño y equilibrando los beneficios y riesgos asociados al uso de estas terapias (6).

Beneficios a corto y largo plazo del tratamiento con hormonas de crecimiento

El tratamiento con hormonas de crecimiento (GH, por sus siglas en inglés) en niños con deficiencia de esta hormona ha demostrado ser una intervención efectiva para abordar tanto las manifestaciones clínicas inmediatas como las complicaciones a largo plazo asociadas con esta condición. A continuación, se describen los principales beneficios en ambos horizontes temporales (7).

Beneficios a corto plazo

En el corto plazo, uno de los efectos más significativos del tratamiento con GH es la aceleración del crecimiento lineal. Los niños que reciben esta terapia suelen experimentar un aumento notable en la velocidad de crecimiento durante los primeros años de tratamiento, lo que les permite acercarse a las curvas normales de crecimiento para su edad y género. Este impacto positivo no solo mejora los parámetros físicos, sino que también puede tener un efecto psicológico importante, al reducir el estigma social asociado con la baja estatura y mejorar la autoestima del paciente (7).

Además del crecimiento lineal, la administración de GH contribuye a la normalización de otros procesos metabólicos. Por ejemplo, se ha observado una mejora en la composición corporal, con un incremento en la masa magra y una reducción de la masa grasa. Esto favorece un desarrollo físico más equilibrado y saludable. En algunos casos, también se reporta una mejora en la densidad mineral ósea, lo cual es crucial para prevenir problemas ortopédicos y fracturas durante la infancia (7).

Beneficios a largo plazo

A largo plazo, el tratamiento con GH tiene como objetivo principal alcanzar una estatura adulta dentro del rango normal, lo que representa un logro significativo en términos de calidad de vida y bienestar psicosocial. La terapia también

puede contribuir a prevenir complicaciones metabólicas asociadas con la deficiencia de GH no tratada, como alteraciones en el perfil lipídico, resistencia a la insulina y mayor riesgo cardiovascular (8).

Otro beneficio relevante es el mantenimiento de una composición corporal saludable en la adultez. Los pacientes tratados durante la infancia tienden a presentar una mejor proporción entre masa magra y grasa, lo que puede reducir el riesgo de obesidad y enfermedades metabólicas en etapas posteriores de la vida. Asimismo, se ha documentado una mejora en la densidad ósea a largo plazo, disminuyendo el riesgo de osteoporosis y fracturas en la edad adulta (8).

Finalmente, el tratamiento con GH puede tener un impacto positivo en el desarrollo cognitivo y emocional. Aunque los estudios en este ámbito son limitados, algunos sugieren que los niveles adecuados de GH podrían influir favorablemente en la memoria, el aprendizaje y el estado anímico (8).

Riesgos y efectos secundarios asociados al uso de terapias hormonales

El tratamiento con terapias hormonales, específicamente con hormona de crecimiento (GH), ha demostrado ser eficaz en el manejo de niños con deficiencia de esta hormona. Sin embargo, como cualquier intervención médica, no está exento de riesgos y efectos secundarios que deben considerarse cuidadosamente antes y durante su administración (9).

Uno de los riesgos más destacados es la posibilidad de que se presenten efectos secundarios a corto plazo, como reacciones en el sitio de inyección, que incluyen dolor, enrojecimiento o inflamación. Además, algunos pacientes pueden experimentar cefaleas, náuseas o dolores musculares y articulares. Estos efectos suelen ser leves y transitorios, pero requieren monitoreo para garantizar la comodidad y seguridad del paciente (9).

En términos de riesgos a mediano y largo plazo, se ha documentado que el uso de GH puede aumentar la probabilidad de desarrollar resistencia a la insulina, lo que podría predisponer a algunos niños a trastornos metabólicos como la diabetes tipo 2. Aunque este riesgo es bajo, es fundamental evaluar periódicamente los niveles de glucosa y otros marcadores metabólicos durante el tratamiento (9).

Otro aspecto importante a considerar es el posible impacto en el sistema musculoesquelético. En algunos casos, se ha observado un crecimiento acelerado del cartílago o un desbalance en el desarrollo óseo que puede derivar en complicaciones como escoliosis o problemas en las articulaciones. Por esta razón, es esencial realizar controles regulares del crecimiento y desarrollo físico del niño (10).

Existen también preocupaciones sobre el riesgo potencial de neoplasias en pacientes tratados con GH, especialmente en aquellos con antecedentes personales o familiares de cáncer. Aunque los estudios actuales no han establecido una relación causal directa, este es un aspecto que debe ser evaluado cuidadosamente por el médico tratante antes de iniciar la terapia (10).

Por último, es importante mencionar los aspectos psicológicos asociados al tratamiento. En algunos casos, los niños pueden experimentar ansiedad o estrés relacionado con las inyecciones diarias, lo que puede afectar su bienestar emocional. El apoyo psicológico y la educación tanto para los pacientes como para sus familias son fundamentales para minimizar estos impactos (10).

Consideraciones éticas y sociales en el tratamiento hormonal infantil

El uso de terapias hormonales en niños con deficiencia de la hormona del crecimiento (DHC) plantea diversas consideraciones éticas y sociales que deben ser evaluadas cuidadosamente para garantizar un abordaje responsable y equilibrado. Estas terapias, aunque ofrecen beneficios significativos en términos de salud física y calidad de vida, también presentan dilemas que involucran la autonomía, el acceso equitativo y las posibles implicaciones a largo plazo (11).

Desde una perspectiva ética, uno de los principales puntos de discusión radica en la toma de decisiones informadas. Dado que los pacientes son menores de edad, la responsabilidad recae en los padres o tutores legales, quienes deben considerar tanto los riesgos como los beneficios del tratamiento antes de otorgar su consentimiento. En este contexto, es fundamental proporcionar información clara, comprensible y basada en evidencia científica, asegurando que las decisiones se tomen en el mejor interés del niño. Sin embargo, también se debe tener en cuenta la opinión del menor, especialmente en casos donde su madurez cognitiva permita un grado de participación en el proceso (11).

En el ámbito social, el acceso desigual a este tipo de terapias es una preocupación importante. Los costos asociados con el tratamiento hormonal pueden ser prohibitivos para muchas familias, lo que genera disparidades significativas en términos de quién puede beneficiarse de estas intervenciones. Este problema subraya la necesidad de políticas públicas que promuevan la equidad en el acceso a tratamientos esenciales, evitando que factores económicos sean una barrera para la

salud infantil (11,12).

Otro aspecto relevante es el impacto psicológico y social del tratamiento en los niños. Si bien las terapias hormonales pueden mejorar la estatura y reducir el estigma asociado con la baja talla, también pueden generar expectativas poco realistas o presiones sociales adicionales. Es crucial que los profesionales de la salud evalúen no solo las necesidades físicas del paciente, sino también su bienestar emocional y social, proporcionando apoyo psicológico cuando sea necesario (12).

Además, las posibles consecuencias a largo plazo del uso de terapias hormonales deben ser consideradas con cautela. Aunque los estudios han demostrado su seguridad y eficacia en muchos casos, aún existen incertidumbres sobre los efectos secundarios que podrían manifestarse años después del tratamiento. Esto resalta la importancia de un seguimiento médico continuo y una evaluación constante de los riesgos y beneficios (12).

Comparación entre diferentes tipos de terapias hormonales disponibles

La terapia hormonal en niños con deficiencia de la hormona del crecimiento (DHC) es un enfoque ampliamente utilizado para abordar esta condición, que puede tener un impacto significativo en el desarrollo físico y psicológico del paciente. Existen diversas opciones terapéuticas disponibles, cada una con características específicas que deben ser consideradas al momento de seleccionar el tratamiento más adecuado. A continuación, se presenta una comparación entre los principales tipos de terapias hormonales disponibles (13).

1. Hormona de crecimiento recombinante humana (rhGH):

La rhGH es la opción más comúnmente utilizada en el tratamiento de la DHC. Se administra mediante inyecciones subcutáneas diarias y ha demostrado ser altamente eficaz en la promoción del crecimiento lineal en niños con esta condición. Su perfil de seguridad está bien establecido, aunque pueden surgir efectos secundarios como dolor en el sitio de inyección, cefalea o hiperglucemia transitoria. La adherencia al tratamiento es un desafío frecuente debido a la frecuencia de las inyecciones y al tiempo prolongado necesario para observar resultados significativos (13).

2. Terapias de liberación prolongada:

En los últimos años, se han desarrollado formulaciones de rhGH de liberación prolongada que permiten administrar la hormona con menor frecuencia, generalmente una vez por semana. Estas terapias buscan mejorar la adherencia al tratamiento y reducir el impacto psicológico asociado con las inyecciones diarias. Sin embargo, su disponibilidad puede ser limitada en algunos países y los costos suelen ser más elevados en comparación con la rhGH convencional (13,14).

3. Análogos de IGF-1:

Para los casos en los que los pacientes presentan resistencia o insensibilidad a la hormona del crecimiento, los análogos del factor de crecimiento similar a la insulina tipo 1 (IGF-1) pueden ser una alternativa eficaz. Estos tratamientos actúan directamente sobre los tejidos diana para promover el crecimiento. No obstante, su uso está indicado principalmente en casos específicos, como el síndrome de Laron, y puede estar asociado con efectos secundarios como hipoglucemia o lipohipertrofia (14).

4. Terapias combinadas:

En ciertos casos, se ha explorado el uso de terapias combinadas que incluyen rhGH e IGF-1 para optimizar los resultados en pacientes con respuestas subóptimas a la monoterapia. Aunque prometedoras, estas estrategias requieren mayor investigación para establecer su seguridad y eficacia a largo plazo (14).

Seguimiento y monitoreo durante el tratamiento con hormonas de crecimiento

El seguimiento y monitoreo durante el tratamiento con hormonas de crecimiento es un aspecto crucial para garantizar la eficacia y seguridad de esta terapia en niños con deficiencia de la hormona del crecimiento. Este proceso permite evaluar el progreso del paciente, ajustar las dosis según sus necesidades individuales y detectar posibles efectos adversos a tiempo (15).

En primer lugar, el monitoreo incluye evaluaciones regulares del crecimiento del niño, generalmente mediante

mediciones de la talla y el peso. Estas mediciones se comparan con las curvas de crecimiento estándar para determinar si la terapia está logrando los resultados esperados. Además, se realizan análisis de sangre periódicos para evaluar los niveles hormonales y otros parámetros bioquímicos, como la glucosa y los lípidos, que pueden verse afectados por el tratamiento (15).

Otro aspecto importante es la evaluación de los posibles efectos secundarios. Aunque las hormonas de crecimiento son generalmente seguras, pueden presentarse complicaciones como edema, dolores articulares o musculares, y en casos raros, alteraciones metabólicas. Por ello, los médicos deben estar atentos a cualquier síntoma que pueda indicar una reacción adversa y tomar medidas inmediatas para mitigar el riesgo (15).

El seguimiento también implica una comunicación constante entre el equipo médico, los padres y el niño. Es fundamental que los cuidadores informen cualquier cambio en el estado de salud del paciente o dificultades relacionadas con la administración de la hormona. Asimismo, los especialistas deben proporcionar educación sobre el tratamiento, incluyendo la correcta aplicación de las inyecciones y la importancia de cumplir con el régimen terapéutico (16).

Además, se recomienda realizar estudios más específicos según las necesidades del paciente. Por ejemplo, pruebas de densidad ósea pueden ser útiles para evaluar el impacto del tratamiento en el desarrollo esquelético. En algunos casos, también se puede considerar la realización de pruebas genéticas para identificar condiciones subyacentes que puedan influir en la respuesta al tratamiento (16).

Finalmente, es esencial que el monitoreo sea individualizado y se adapte a las características únicas de cada paciente. Factores como la edad, el sexo, la severidad de la deficiencia hormonal y la presencia de otras condiciones médicas deben ser considerados al diseñar un plan de seguimiento. Esto asegura que el tratamiento no solo sea efectivo, sino también seguro a largo plazo (16).

Perspectivas futuras e innovación en el manejo de la deficiencia hormonal en niños

La deficiencia de la hormona del crecimiento (DHC) en niños es una condición que ha sido objeto de extensos estudios, y el desarrollo de terapias hormonales ha transformado significativamente su tratamiento. Sin embargo, el manejo de esta afección sigue enfrentando desafíos y oportunidades para la innovación. En este contexto, las perspectivas futuras se centran en mejorar la eficacia, seguridad y accesibilidad de las terapias, así como en explorar nuevas tecnologías y enfoques personalizados (17).

Una de las principales áreas de investigación se enfoca en la optimización de las terapias actuales. Los avances en la ingeniería farmacéutica han permitido el desarrollo de formulaciones de liberación prolongada, que podrían reducir la frecuencia de las inyecciones necesarias, mejorando así la adherencia al tratamiento y la calidad de vida de los pacientes. Estas formulaciones están diseñadas para liberar la hormona del crecimiento de manera gradual, manteniendo niveles estables en el organismo y minimizando los efectos secundarios (17).

Por otro lado, la medicina personalizada está ganando terreno como una estrategia prometedora. El análisis genético y molecular permite identificar variaciones individuales que influyen en la respuesta al tratamiento, lo que facilita la creación de planes terapéuticos adaptados a las necesidades específicas de cada niño. Este enfoque no solo optimiza los resultados clínicos, sino que también reduce el riesgo de efectos adversos (17).

La biotecnología y la terapia génica también están emergiendo como áreas clave para el manejo futuro de la DHC. La posibilidad de corregir directamente las alteraciones genéticas responsables de la deficiencia hormonal representa un cambio paradigmático en el tratamiento. Aunque estas tecnologías aún se encuentran en etapas experimentales, los avances en edición genética, como CRISPR-Cas9, ofrecen un horizonte esperanzador para tratamientos más efectivos y duraderos (18).

Además, el uso de tecnologías digitales y dispositivos inteligentes está revolucionando el seguimiento y monitoreo del tratamiento. Aplicaciones móviles y dispositivos portátiles permiten a los pacientes y sus familias registrar datos en tiempo real, facilitando una gestión más precisa y proactiva. Estas herramientas también mejoran la comunicación entre los pacientes y los profesionales de la salud, lo que contribuye a un manejo más integral y eficiente (18).

En términos de accesibilidad, es crucial garantizar que los avances tecnológicos y terapéuticos estén al alcance de todos los pacientes, independientemente de su ubicación geográfica o situación económica. Esto requiere esfuerzos coordinados entre gobiernos, instituciones médicas e industrias farmacéuticas para reducir costos, aumentar la disponibilidad y promover políticas públicas inclusivas (18).

CONCLUSIÓN

En conclusión, el uso de terapias hormonales en niños con deficiencia de la hormona del crecimiento representa una intervención esencial para mejorar su desarrollo físico y calidad de vida. La evidencia revisada respalda que estas terapias pueden promover un crecimiento adecuado, optimizar la composición corporal y prevenir complicaciones asociadas con esta deficiencia. Sin embargo, también es fundamental considerar los posibles riesgos, como efectos adversos metabólicos, alteraciones en la tolerancia a la glucosa y complicaciones óseas a largo plazo. La selección de candidatos para este tratamiento debe realizarse de manera rigurosa, considerando factores como la edad, la severidad de la deficiencia y las condiciones comórbidas. Asimismo, el monitoreo constante por parte de un equipo médico especializado es imprescindible para ajustar las dosis y minimizar riesgos. Aunque los beneficios suelen superar los posibles efectos secundarios en la mayoría de los casos, es necesario individualizar cada tratamiento y fomentar una comunicación clara con las familias sobre las expectativas y limitaciones del mismo. En última instancia, las terapias hormonales constituyen una herramienta valiosa dentro de un enfoque integral, pero su uso requiere un equilibrio cuidadoso entre maximizar los beneficios y mitigar los riesgos asociados.

REFERENCIAS

1. Cohen LE. Idiopathic short stature: a clinical review. JAMA. 2014 May 7;311(17):1787-96. doi: 10.1001/jama.2014.3970.
2. Grimberg A, DiVall SA, Polychronakos C, Allen DB, Cohen LE, et al; Drug and Therapeutics Committee and Ethics Committee of the Pediatric Endocrine Society. Guidelines for Growth Hormone and Insulin-Like Growth Factor-I Treatment in Children and Adolescents: Growth Hormone Deficiency, Idiopathic Short Stature, and Primary Insulin-Like Growth Factor-I Deficiency. Horm Res Paediatr. 2016;86(6):361-397. doi: 10.1159/000452150.
3. Yuen KCJ, Biller BMK, Radovick S, et al. American Association of Clinical Endocrinologists and American College of Endocrinology Guidelines for Management of Growth Hormone Deficiency in Adults and Patients Transitioning from Pediatric to Adult Care. Endocr Pract. 2019;25(11):1191-1232. doi:10.4158/GL-2019-0405
4. Demirbilek H, Hussain K. Congenital Hyperinsulinism: Diagnosis and Treatment Update. J Clin Res Paediatr Endocrinol. 2017 Dec 30;9(Suppl 2):69-87. doi: 10.4274/jcrpe.2017.S007.
5. Wit JM, Kamp GA, Oostdijk W; on behalf of the Dutch Working Group on Triage and Diagnosis of Growth Disorders in Children. Towards a Rational and Efficient Diagnostic Approach in Children Referred for Growth Failure to the General Paediatrician. Horm Res Paediatr. 2019;91(4):223-240. doi: 10.1159/000499915.
6. Deal CL, Tony M, Höybye C, Allen DB, Tauber M, et al; 2011 Growth Hormone in Prader-Willi Syndrome Clinical Care Guidelines Workshop Participants. GrowthHormone Research Society workshop summary: consensus guidelines for recombinant human growth hormone therapy in Prader-Willi syndrome. J Clin Endocrinol Metab. 2013 Jun;98(6):E1072-87. doi: 10.1210/jc.2012-3888.
7. Ariza AB, Leiva I, Martinez MJ, Lopez JP. Isolated Growth Hormone Deficiency and Idiopathic Short Stature: Comparative Efficiency after Growth Hormone Treatment up to Adult Height. J Clin Med. 2021 Oct 27;10(21):4988. doi: 10.3390/jcm10214988.
8. Hokken AC, van der Steen M, Boguszewski M, Cianfarani S, Dahlgren J, et al. International Consensus Guideline on Small for Gestational Age: Etiology and Management From Infancy to Early Adulthood. Endocr Rev. 2023 May 8;44(3):539-565. doi: 10.1210/endrev/bnad002.
9. Child CJ, Zimmermann AG, Chrousos GP, Cummings E, Deal CL, et al. Safety Outcomes During Pediatric GH Therapy: Final Results From the Prospective GeNeSIS Observational Program. J Clin Endocrinol Metab. 2019 Feb 1;104(2):379-389. doi: 10.1210/jc.2018-01189.
10. Allen DB, Backeljauw P, Bidlingmaier M, Biller BM, Boguszewski M, et al. GH safety workshop position paper: a critical appraisal of recombinant human GH therapy in children and adults. Eur J Endocrinol. 2016 Feb;174(2):P1-9. doi: 10.1530/EJE-15-0873.
11. Baron T, Dierckxsens G. Two dilemmas for medical ethics in the treatment of gender dysphoria in youth. J Med Ethics. 2022 Sep;48(9):603-607. doi: 10.1136/medethics-2021-107260.
12. Simons L, Schrager SM, Clark LF, Belzer M, Olson J. Parental support and mental health among transgender adolescents. J Adolesc Health. 2013 Dec;53(6):791-3. doi: 10.1016/j.jadohealth.2013.07.019.
13. Miller BS, Velazquez E, Yuen K. Long-Acting Growth Hormone Preparations - Current Status and Future Considerations. J Clin Endocrinol Metab. 2020 Jun 1;105(6):e2121-33. doi: 10.1210/clinem/dgz149.
14. Grimberg A, DiVall SA, Polychronakos C, Allen DB, Cohen LE, et al; Drug and Therapeutics Committee and Ethics Committee of the Pediatric Endocrine Society. Guidelines for Growth Hormone and Insulin-Like Growth Factor-I Treatment in Children and Adolescents: Growth Hormone Deficiency, Idiopathic Short Stature, and Primary Insulin-Like Growth Factor-I Deficiency. Horm Res Paediatr. 2016;86(6):361-397. doi: 10.1159/000452150.
15. Cianfarani S. Safety of Pediatric rhGH Therapy: An Overview and the Need for Long-Term Surveillance. Front Endocrinol (Lausanne). 2021 Dec 24;12:811846. doi: 10.3389/fendo.2021.811846.

16. Ranke MB, Wit JM. Growth hormone - past, present and future. *Nat Rev Endocrinol*. 2018 May;14(5):285-300. doi: 10.1038/nrendo.2018.22.
17. Rodaro C, Tamaro G, Faleschini E, Tornese G. Long-acting growth hormones: innovations in treatment and guidance on patient selection in pediatric growth hormone deficiency. *Ann Pediatr Endocrinol Metab*. 2025 Apr;30(2):106-110. doi: 10.6065/apem.2448202.101.
18. Loche S, Kanumakala S, Backeljauw P, Schwab KO, Lechuga AM, et al. Safety and Effectiveness of a Biosimilar Recombinant Human Growth Hormone in Children Requiring Growth Hormone Treatment: Analysis of Final Data from PATRO Children, an International, Post-Marketing Surveillance Study. *Drug Des Devel Ther*. 2024 Mar 2;18:667-684. doi: 10.2147/DDDT.S440009.