



Neurology perspectives



17248 - PREDICTORES DE RESPUESTA A TRATAMIENTO CON PATISIRÁN EN UNA COHORTE NO ENDÉMICA DE PACIENTES CON ATTRV

Martínez Vicente, L.¹; Gajate García, V.¹; Gutiérrez Gutiérrez, G.²; Guerrero Peral, Á.L.³; Horga, A.¹; Guerrero Sola, A.¹; Matías-Guiu, J.¹; Galán Dávila, L.¹

¹Servicio de Neurología. Hospital Clínico San Carlos; ²Servicio de Neurología. Hospital Universitario Infanta Sofía; ³Servicio de Neurología. Hospital Clínico Universitario de Valladolid.

Resumen

Objetivos: Patisirán es un pequeño ARN de interferencia que inhibe la síntesis hepática de TTR. Nuestro objetivo fue estudiar los factores predictores de respuesta a patisirán en una cohorte de pacientes con ATTRv de área no endémica.

Material y métodos: Estudio retrospectivo con recogida prospectiva de datos de pacientes con ATTRv en tratamiento con patisirán durante ≥ 6 meses. Los pacientes fueron clasificados en tres grupos según su respuesta a tafamidis (buenos respondedores, respondedores parciales y no respondedores). Los datos demográficos, clínicos y de laboratorio se correlacionaron con la respuesta a patisirán.

Resultados: 22 pacientes fueron evaluados, 8 mujeres y 14 hombres. La edad media de inicio de la enfermedad fue de 62 años. El NIS medio inicial fue 51,3. 11 pacientes tenían un estadio FAP/Coutinho inicial = 2 (52,4%). 13 pacientes habían recibido previamente tratamiento con tafamidis (59,1%). El tiempo medio de tratamiento con patisirán fue de 27,6 meses. En la última visita, 19 pacientes seguían en tratamiento con patisirán (86,4%), 1 paciente había cambiado de tratamiento (4,5%), y 2 pacientes habían fallecido (9,1%). 11 pacientes fueron buenos respondedores (50%), 8 respondedores parciales (36,4%) y 3 no respondedores (13,6%). Los factores predictores de buena respuesta a patisirán fueron el sexo masculino ($p = 0,006$), un PND inicial \leq IIIA ($p = 0,002$) y un NTproBNP mantenido < 300 ($p = 0,027$).

Conclusión: En este estudio, el sexo masculino, un PND inicial \leq IIIA, y un NTproBNP mantenido < 300 fueron factores predictores de buena respuesta al tratamiento con patisirán.