



Neurology perspectives



18766 - Trasplante autólogo de células madre hematopoyéticas en esclerosis múltiple: actualización de resultados en la cohorte valenciana

Boix Lago, A.¹; Gil Perotín, S.²; Ramió Torrentà, L.¹; Casanova Estruch, B.²

¹Servicio de Neurología. Hospital Universitari Dr. Josep Trueta de Girona; ²Servicio de Neurología. Hospital Universitari i Politècnic La Fe.

Resumen

Objetivos: El trasplante autólogo de células madre hematopoyéticas (aHSCT) es una opción terapéutica para pacientes con esclerosis múltiple (EM) agresiva, aunque no es una técnica de uso común. Las indicaciones actuales del aHSCT son EM muy activa, con duración corta de la enfermedad (≤ 10 años), pacientes jóvenes (<math>< 45</math> años) y respuesta subóptima a tratamientos de alta eficacia. El objetivo principal de este estudio es actualizar las características de los pacientes de la cohorte valenciana.

Material y métodos: Análisis de una cohorte prospectiva de 46 pacientes con EM tratados con aHSCT entre 1999-2022. La principal indicación de trasplante fue la recaída clínica a pesar de tratamiento activo dirigido durante al menos un año. La eficacia se evaluó en pacientes seguidos durante al menos 2 años y la toxicidad se evaluó durante todo el seguimiento.

Resultados: Las características basales previo a aHSCT fueron, edad media 36,5 años (DE 9,2), 31 mujeres, EDSS basal 5 (DE 4-6), 33 EMRR - 11 EMSP - 2 EMPP. 24 pacientes tenían GEL previo al aHSCT. La mediana tiempo de seguimiento fue de 8 años (2,5-13). 28 pacientes habían perdido NEDA3 estatus en la última visita y 20 requirieron reiniciar tratamiento específico. La mediana EDSS pos-aHSCT fue de 4 (DE 3-6,5), con una mejora de EDSS 0,5 (DE -1,5-1). Las neoplasias malignas y eventos autoinmunes fueron poco frecuentes (3 respectivamente). Un cambio EDSS $\geq -0,5$ se asoció significativamente con EMRR, GEL en *baseline* y tratamiento previo con FGM.

Conclusión: El aHSCT como terapia alternativa para tratar pacientes con EM agresiva es un procedimiento relativamente seguro y eficaz. Es necesario proponer estudios comparativos con efectos adversos y efectividad entre los tratamientos inmunomoduladores y el aHSCT.