



# Neurology perspectives



## 20061 - EFECTIVIDAD DEL TRATAMIENTO CON RISDIPLAM EN PACIENTES ADULTOS CON ATROFIA MUSCULAR ESPINAL II-III

García Estévez, D.

Servicio de Neurología. Complejo Hospitalario Universitario de Ourense.

### Resumen

**Objetivos:** La atrofia muscular espinal (AME) es una enfermedad neurodegenerativa condicionada genéticamente, que afecta a la neurona motora inferior, y para cuyo tratamiento se dispone actualmente de los denominados oligonucleótidos antisentido. La eficacia de estos tratamientos se ha valorado principalmente en la edad pediátrica y en la adolescencia. Nuestro objetivo fue valorar la efectividad del risdiplam en pacientes adultos diagnosticados de AME de tipo II y III, en condiciones de práctica clínica habitual.

**Material y métodos:** Se han estudiado 8 pacientes adultos con AME. El número de copias de SMN2 fue de 3 o 4. La función motora se cuantificó con la escala EK-2 (Egen Klassifikation Scale) y la ALSFRS-r. La funcionalidad de los miembros superiores se valoró con el *Nine Hole Peg Test* (9HPT, segundos) en la mano dominante, y la función respiratoria con el *Peak-Flow* (presión espiratoria, l/min) y el SNIP (*Sniff Nasal Inspiratory Pressure*, cm H<sub>2</sub>O). Las escalas y pruebas funcionales se administraron antes del inicio del tratamiento y a los 6 meses de seguimiento. La prueba estadística de Wilcoxon se empleó para las comparaciones.

**Resultados:** La mediana de edad fue 55 años (41-66). Solo un paciente era ambulante. Tres pacientes tenían escoliosis grave. Dos pacientes procedían de nusinersén. A los 6 meses no se encontraron diferencias estadísticamente significativas en las variables analizadas: EK-2 (15,1 ± 7,8 vs. 15,5 ± 7,3), ALSFRS-r (29,6 ± 6,3 vs. 30,5 ± 5,6), 9HPT (31 ± 4 vs. 30 ± 3), *Peak-Flow* (264 ± 118 vs. 281 ± 135), y SNIP (72 ± 24 vs. 76 ± 30).

**Conclusión:** En el seguimiento a 6 meses, el tratamiento con risdiplam mantiene la estabilidad clínica de los pacientes adultos con AME.