



# Neurology perspectives



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

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

<sup>1</sup>Servicio de Neurología. Hospital Clínico San Carlos; <sup>2</sup>Servicio de Neurología. Hospital Universitario Infanta Sofía; <sup>3</sup>Servicio 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  $\geq 6$  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.