Neurology Perspectives. 2022;2(Espec Cong 1):181

Neurology perspectives

17883 - CÓMO MEDIR LOS RESULTADOS DEL TRATAMIENTO DE LA ATROFIA MUSCULAR ESPINAL CON NUSINERSéN A LARGO PLAZO. SENSIBILIDAD DE LAS DIFERENTES ESCALAS

Pascual Pascual, S.I.[1]; Álvarez Esteve, P.[2]; Caballero Caballero, J.M.[2]; Rodríguez Sánchez, C.[2]; Fernández-Cuesta Peñafiel, J.[2]; Fernández García, M.A.[2]; Martínez Moreno, M.[3]; García Romero, M.[2]

[1]Servicio de Neuropediatría. Hospital Universitario La Paz; [2]Servicio de Neurología. Hospital Universitario La Paz; [3]Servicio de Rehabilitación. Hospital Universitario La Paz.

Resumen

Objetivos: Valorar la sensibilidad de diferentes escalas a los cambios que ocurren al tratar las AME tipos 2 y 3 con nusinersén intratecal. Hay acuerdo internacional en estimar la mejora mediante escalas motoras (tronco y miembros inferiores con la HFMSE, y la de miembros superiores con la rULM), Los pacientes y/o cuidadores informan de la discapacidad (escala EK2), la independencia para actividades diarias (SMAIS) y la fatigabilidad.

Material y métodos: Analizamos todos los casos tratados de AME 2 y 3 en la CA de Madrid. Escalas HFMSE, rULM, 6MWT, EK2, SMAIS y fatiga pre y postratamiento.

Resultados: Fueron tratados 29 casos: 8 AME-2 y 21 casos AME3, con edades entre 2 y 75 años. El estado funcional al comenzar el tratamiento era ya algo peor: permanecían ambulantes (“walkers”) 16, “sitters” 11 y “non-sitters” 2. Seguimiento entre 1,3 y 3,5 años. Recibieron de media 14 dosis (rango 7-15). En el análisis global todas las escalas mostraron mejoras significativas con nusinersén: HFMSE $p = 0,002$, rULM $p = 0,025$, EK2 $p = 0,003$, SMAIS $p < 0,001$, fatiga ($p < 0,001$). La mejora fue más pronunciada tanto en AME2 como AME3 en escalas SMAIS, EK2 y fatiga. Las escalas motoras HFMSE y rULM se mostraron más sensibles en los pacientes AME3, los que tenían más potencial de mejora de movimiento. La mejora que observaron los pacientes/cuidadores fue superior a las expectativas que ellos tenían previamente al tratamiento.

Conclusión: A largo plazo todos los casos AME mejoran con nusinersén, especialmente en independencia, discapacidad y fatigabilidad. Es necesario incluir estas escalas y cuestionarios referidos por el paciente/cuidador en el seguimiento.

2667-0496 / © 2022, Elsevier España S.L.U. y Sociedad Española de Neurología (SEN). Todos los derechos reservados.