



Neurology perspectives



17246 - FACTORES PREDICTORES DE RESPUESTA A TAFAMIDIS EN UNA COHORTE DE PACIENTES CON ATTRV DE ÁREA NO ENDÉMICA

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: Tafamidis es un estabilizador de la TTR aprobado para la amiloidosis hereditaria por transtirretina (ATTRv). Nuestro objetivo fue estudiar los factores predictores de respuesta a tafamidis 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 tafamidis durante ? 6 meses. Los pacientes fueron divididos 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 tafamidis.

Resultados: 40 pacientes fueron evaluados, 19 mujeres y 21 hombres. La edad media de inicio de la enfermedad fue de 61 años. El NIS medio inicial fue 16,8. El 100% de los pacientes tenían un estadio FAP/Coutinho inicial = 1. El tiempo medio de tratamiento con tafamidis fueron 38 meses. 16 pacientes fueron buenos respondedores (42,1%), 6 respondedores parciales (15,8%) y 16 no respondedores (42,1%). Los factores predictores de no respuesta a tafamidis fueron un PND inicial = 2 ($p = 0,021$), afectación inicial de fibra gruesa ($p = 0,006$), pérdida de peso significativa ($p = 0,008$), la presencia de estenosis de canal lumbar ($p = 0,009$) y un NT-proBNP inicial > 3000 ($p = 0,027$). Un PND inicial = I ($p = 0,02$), un NIS inicial > 15 ($p = 0,001$), Norfolk inicial # 40 ($p = 0,025$) se asociaron con buena respuesta a tafamidis.

Conclusión: En este estudio, un PND inicial = 1, NIS # 3.000 fueron factores predictores de no respuesta a tafamidis.