



20022 - Análisis de la población ≥ 16 años con atrofia muscular espinal incluida en el proyecto longitudinal CUIDAME

ñungo Garzón, N.¹; Puig Ram, C.²; Pitarch Castellano, I.³; Segovia Simón, S.⁴; Fernández García, M.⁵; Pascual Pascual, S.⁵; Marco Cazcarra, C.⁶; Povedano Panades, M.⁶; Moreno, A.⁷; Jericó Pascual, I.⁸; Grimalt Calatayud, M.⁹; Gil Polo, C.¹⁰; Expósito Escudero, J.⁴; García Campos, O.¹¹; Henao R, M.¹²; Nascimiento Osorio, A.⁴; Vázquez Costa, J.¹³

¹Servicio de Neurología y Neuropediatría. Hospital Universitari i Politècnic La Fe; ²Servicio de Neuropediatría. Institut de Recerca Sant Joan de Déu; ³Servicio de Neurología Pediátrica. Hospital Universitari i Politècnic La Fe; ⁴Servicio de Neurología Pediátrica. Institut de Recerca Sant Joan de Déu; ⁵Servicio de Neurología Pediátrica. Hospital Universitario La Paz; ⁶Servicio de Neurología. Hospital Universitari de Bellvitge; ⁷Servicio de Neurología Pediátrica. Hospital Universitario Virgen de la Arrixaca; ⁸Servicio de Neurología. Complejo Hospitalario de Navarra; ⁹Servicio de Neuropediatría. Complejo Asistencial Son Espases; ¹⁰Servicio de Neurología. Hospital Universitario de Burgos; ¹¹Servicio de Neuropediatría. Complejo Hospitalario de Toledo; ¹²Servicio de Neurología. Complejo Hospital Universitario Nuestra Sra. de Candelaria; ¹³Servicio de Neurología. Hospital Universitari i Politècnic La Fe.

Resumen

Objetivos: La AME es una enfermedad rara de la que se dispone de insuficiente información acerca de su historia natural y de la respuesta a los tratamientos en la vida real. Desde el año 2020 se implementó el proyecto CUIDAME como un registro de los datos clínicos evolutivos de los pacientes pediátricos y adultos con AME atendidos en diferentes centros sanitarios en España durante un periodo de al menos 5 años. Este trabajo busca describir los hallazgos encontrados luego de 3 años de seguimiento de la población > 16 años.

Material y métodos: El proyecto ha utilizado la plataforma SMArtCare para la recogida de datos de cada visita clínica con escalas motoras y/o funcionales. Se evaluaron los datos de 334 pacientes en seguimiento en 16 hospitales españoles incluidos a 30 de noviembre de 2022.

Resultados: El 36% de la población es ≥ 16 años en el momento basal [inicio del tratamiento modificador (TME); o, inicio de seguimiento para paciente no tratado] con una edad media de 34,3 años. El 96% de la población analizada era tipo II y III, el 3% restante eran tipo I ($n = 2$), IV ($n = 2$) y presintomáticos ($n = 1$). 69% de ellos han recibido tratamiento con TME (nusinersén o risdiplam) y 5% lo hizo participando en un ensayo clínico. Los datos longitudinales se presentarán con mayor detalle en el congreso.

Conclusión: Los registros de datos de enfermedades raras, como CUIDAME, permiten analizar datos reales de los pacientes para que neurólogos y pacientes puedan tomar decisiones basadas en la evidencia acerca del tratamiento y seguimiento.