



Neurology perspectives



22460 - EXPERIENCIA CON VUTRISIRÁN EN NEUROPATÍA ATTRV EN UN ÚNICO CENTRO NO ENDÉMICO

Rodríguez Albacete, N.¹; Martínez Vicente, L.¹; Horga Hernández, A.¹; Guerrero Sola, A.¹; Gutiérrez Gutiérrez, G.²; Guerrero Peral, Á.³; Restrepo Córdoba, A.⁴; Morata Bianchi, J.¹; García Pavía, P.⁵; 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; ⁴Servicio de Cardiología. Hospital Clínico San Carlos; ⁵Servicio de Cardiología. Hospital Universitario Puerta de Hierro Majadahonda.

Resumen

Objetivos: Evaluar la evolución clínica y de biomarcadores en pacientes con amiloidosis hereditaria por transtirretina (ATTRv) tratados con vutrisirán en un hospital de tercer nivel.

Material y métodos: Se revisaron retrospectivamente los pacientes ATTRv de nuestra Unidad de Enfermedades Neuromusculares tratados con vutrisirán durante al menos 6 meses. Se recogieron valores basales y semestrales de las escalas FAP (Familial Amyloid Polyneuropathy), PND (Peripheral Neuropathy Disability), NIS (Neuropathy Impairment Score) y niveles séricos de transtirretina (TTR) y NT-proBNP. Se definió supresión completa de TTR como < 5 mg/dl. Se excluyó un paciente incluido en un ensayo clínico.

Resultados: Se incluyeron 26 pacientes (11 mujeres, rango de edad 45-85 años, mediana de seguimiento: 15 meses [rango intercuartílico (RIC) 12-18]; mediana de NIS basal: 31,0 [RIC 14,0-68,25]). La mutación más frecuente fue Val50Met (15 pacientes; 57,7%). En la última valoración, 17 pacientes (65%) presentaban NIS estable o mejor (mediana de mejoría: 5,63 [RIC: 4,75-10,25]). 2 pacientes (7,7%) mejoraron el estadio PND (de PND-II a PND-I y de PND-IIIB a PND-IIIA) y 19 (73%) se mantuvieron estables. Todos excepto un paciente (96%) alcanzaron supresión completa de TTR. Los niveles de NT-proBNP se estabilizaron o disminuyeron en 18 pacientes (69%; mediana de mejoría: 60 [RIC: 24-154]). Un paciente interrumpió el tratamiento por progresión clínica.

Conclusión: En esta serie de 26 pacientes con ATTRv tratados con vutrisirán, más de la mitad mostró estabilidad o mejoría en escalas estandarizadas y biomarcadores tras una mediana de seguimiento de 15 meses. Estos hallazgos respaldan la efectividad de vutrisirán en neuropatía ATTRv en vida real.