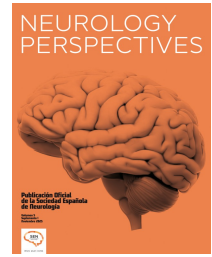




# Neurology perspectives



## 22449 - EFECTO DE GIVINOSTAT EN LA FUNCIÓN RESPIRATORIA EN DISTROFIA MUSCULAR DE DUCHENNE ANTES Y DESPUÉS DE LA PÉRDIDA DE LA DEAMBULACIÓN: RESULTADOS DE EPIDYS, OLE Y PRO-DMD-01

Aragon Gawinska, K.<sup>1</sup>; McDonald, C.<sup>2</sup>; Laverty, C.<sup>3</sup>; Finanger, E.<sup>4</sup>; Signorovitch, J.<sup>5</sup>; Parodi, A.<sup>6</sup>; Alessi, F.<sup>6</sup>; Cazzaniga, S.<sup>6</sup>; Bettica, P.<sup>6</sup>; Pereon, Y.<sup>7</sup>; Mercuri, E.<sup>8</sup>

<sup>1</sup>Unidad Neuromuscular. Servicio de Neurología. Hospital Universitari i Politècnic La Fe; <sup>2</sup>Department of Physical Medicine & Rehabilitation. University of California Davis Health; <sup>3</sup>Department of Neurosciences. University of California San Diego; <sup>4</sup>Pediatric Neurology. Shriners Hospital for Children; <sup>5</sup>The Collaborative Trajectory Analysis Project. Cambridge. Analysis Group Boston; <sup>6</sup>Italfarmaco Milan; <sup>7</sup>Reference Centre for Neuromuscular Diseases AOC. CHU Nantes; <sup>8</sup>Pediatric Neurology Institute. Catholic University and Nemo Pediatrico. Fondazione Policlinico Gemelli IRCCS.

### Resumen

**Objetivos:** Evaluar el efecto de givinostat sobre la función pulmonar en pacientes con distrofia muscular de Duchenne (DMD) que experimentaron pérdida de la deambulación (LoA) durante el seguimiento.

**Material y métodos:** Se realizó una comparación indirecta entre los datos del estudio fase 3 de givinostat, EPIDYS (NCT02851797) y su extensión abierta (NCT03373968) con los datos de historia natural del estudio PRO-DMD-01 (NCT01753804), teniendo en cuenta las características clínicas de los pacientes mediante emparejamiento ajustado. Las medias del porcentaje de capacidad vital forzada (FVC, %) pre y pos-LoA se estimaron utilizando modelos mixtos longitudinales para medidas repetidas, ajustándose a los datos disponibles durante ambos periodos.

**Resultados:** Se incluyeron 56 pacientes tratados con givinostat más corticoides y 51 del estudio PRO-DMD-01 tratados solo con corticoides. Entre los tratados con givinostat, el FVC medio (error estándar, EE) fue de 91,3% (2,2%) dos años antes de la LoA, 83% (2,3%) en el momento de la LoA y a 74,4% (2,4%) dos años después. El descenso medio anual de FVC fue de 3,6% (1,2%) antes y 3,9% (1,3%) después de la LoA. En comparación, los pacientes del estudio PRO-DMD-01 presentaron una disminución media anual de 5,6% (2,1%) antes de la LoA y de 10,1% (2,2%) después.

**Conclusión:** Las trayectorias de FVC mostraron disminución más lenta en pacientes tratados con givinostat, en comparación con aquellos tratados solo con corticoides, sin diferencias antes y después de la LoA en el grupo de givinostat. Estos hallazgos sugieren una estabilización de la función pulmonar con el tratamiento con givinostat.