



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

¹Unidad Neuromuscular. Servicio de Neurología. Hospital Universitari i Politècnic La Fe; ²Department of Physical Medicine & Rehabilitation. University of California Davis Health; ³Department of Neurosciences. University of California San Diego; ⁴Pediatric Neurology. Shriners Hospital for Children; ⁵The Collaborative Trajectory Analysis Project. Cambridge. Analysis Group Boston; ⁶Italfarmaco Milan; ⁷Reference Centre for Neuromuscular Diseases AOC. CHU Nantes; ⁸Pediatric 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 períodos.

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.