

## 20826. PERCEPCIÓN DEL PROFESIONAL SOBRE LAS RECOMENDACIONES DE MANEJO ACTUAL DE LA MIASTENIA GRAVIS EN CONDICIONES DE PRÁCTICA HABITUAL

Álvarez Velasco, R.<sup>1</sup>; Guerrero Sola, A.<sup>2</sup>; Campos Lucas, F.<sup>3</sup>; Caballero Martínez, F.<sup>3</sup>; Monge Martín, D.<sup>3</sup>; Cortés Vicente, E.<sup>1</sup>

<sup>1</sup>Servicio de Neurología. Hospital de la Santa Creu i Sant Pau; <sup>2</sup>Servicio de Neurología. Hospital Clínico San Carlos; <sup>3</sup>Facultad de Medicina. Universidad Francisco de Vitoria.

**Objetivos:** Conocer el grado de conocimiento, de acuerdo y de aplicación en la práctica real de recomendaciones sobre el manejo de la MG de *Myasthenia Gravis Foundation of America*.

**Material y métodos:** Estudio transversal realizado mediante una encuesta autocumplimentada por neurólogos expertos en MG en España. Se evaluó el grado de conocimiento, de acuerdo y de aplicación de recomendaciones y el grado de acuerdo con definiciones del consenso internacional ampliamente reconocido sobre el manejo de la MG promovido por la *Myasthenia Gravis Foundation of America* en el año 2016 y actualizado en el 2020.

**Resultados:** Participaron 53 médicos neurólogos procedentes de centros españoles (edad media 45,4 años, 53% hombres) que atendían a una media de 3,6 pacientes con MG al día. El grado de conocimiento de las definiciones y recomendaciones fue alto. En 40 de 61 recomendaciones, al menos el 90% de los neurólogos conocían dicha recomendación. Las recomendaciones menos conocidas trataban sobre la MG juvenil y la MG en el embarazo. En dos recomendaciones (sobre MG en el embarazo y sobre uso de inmunoglobulina intravenosa en MG leve u ocular) no hubo un acuerdo mayoritario. La aplicación de las recomendaciones era alta salvo en algunas relacionadas con el uso de recambio plasmático, timectomía, metotrexato o eculizumab.

**Conclusión:** El grado de conocimiento, acuerdo y aplicación de las recomendaciones es alto. Es necesario reforzar la evidencia y el consenso en aspectos como el manejo de la MG juvenil, la MG en el embarazo o el uso de algunos tratamientos.

## 20410. ENSAYO CLÍNICO FASE 2 DE EFICACIA Y SEGURIDAD DEL INHIBIDOR DE COMPLEMENTO C1S RILIPRUBART EN POLINEUROPATÍA DESMIELINIZANTE INFLAMATORIA CRÓNICA

Querol Gutiérrez, L.<sup>1</sup>; Lewis, R.<sup>2</sup>; Hartung, H.<sup>3</sup>; van Doorn, P.<sup>4</sup>; Wallstroem, E.<sup>5</sup>; Auwarter, K.<sup>6</sup>; Luo, X.<sup>7</sup>; Alonso Alonso, M.<sup>5</sup>; Atassi, N.<sup>5</sup>; Hughes, R.<sup>8</sup>

<sup>1</sup>Servicio de Neurología. Hospital de la Santa Creu i Sant Pau; <sup>2</sup>Cedars Sinai Medical Center; <sup>3</sup>Departamento Neurología. Heinrich-Heine-University; <sup>4</sup>Erasmus MC. University Medical Center; <sup>5</sup>Desarrollo Neurología. Sanofi; <sup>6</sup>Sanofi; <sup>7</sup>Bioestadística y Programación. Sanofi R&D; <sup>8</sup>Queen Square Institute of Neurology. University College London.

**Objetivos:** Describir resultados preliminares de eficacia y seguridad de riliprubart en pacientes con polineuropatía desmielinizante inflamatoria crónica (CIDP).

**Material y métodos:** Ensayo clínico multicéntrico fase 2 abierto (NCT04658472) que evalúa riliprubart en tres grupos de pacientes: con tratamiento estándar (inmunoglobulinas/corticoides), refractarios a tratamiento estándar y *naïve*. Duración del tratamiento con riliprubart: 24 semanas (parte A), con extensión opcional (parte B: 52 semanas; parte C: hasta fin del ensayo). El *endpoint* primario (parte A) es, en el grupo con tratamiento estándar, % participantes con recaída (incremento  $\geq 1$  punto aINCAT) tras el cambio a riliprubart. En los grupos refractario y *naïve*, el *endpoint* primario es % participantes con respuesta (disminución  $\geq 1$  punto aINCAT). La parte B evalúa la persistencia de la eficacia. Se evalúa también la seguridad.

**Resultados:** El análisis interino predefinido (parte A) mostró que el 88% (n = 22/25) de los pacientes con tratamiento estándar que cambiaron

a riliprubart mejoraron o permanecieron estables. El 50% (n = 9/18) de los pacientes refractarios respondieron. Se observaron magnitudes de efecto significativas y consistentes en las medidas de eficacia utilizadas. Además, se observó inhibición de complemento sostenida y tendencia a la reducción de los niveles de pNfL. Se produjeron AAST en el 60% (n = 15/25) y el 72% (n = 13/18) de los pacientes con tratamiento estándar y refractarios, respectivamente. Más frecuentes: cefalea, fatiga y nasofaringitis. Hubo dos fallecimientos en pacientes con comorbilidades significativas, aparte de la CIDP.

**Conclusión:** Estos resultados demuestran prueba de concepto de riliprubart en CIDP, con un perfil de riesgo-beneficio favorable.

## Epilepsia I

### 20512. EFICACIA Y SEGURIDAD DE FENFLURAMINA EN EL SÍNDROME DE PUNTA-ONDA CONTINUA DURANTE EL SUEÑO DE ONDAS LENTAS: RESULTADOS DEL ESTUDIO FENDEEP

Torres Moral, A.<sup>1</sup>; Beltrán Corbellini, Á.<sup>2</sup>; Sánchez-Román Miranda, I.<sup>2</sup>; Pascual Zapatero, I.<sup>2</sup>; Valls Carbó, A.<sup>2</sup>; Toledano Delgado, R.<sup>2</sup>; García Morales, I.<sup>2</sup>; Gil-Nagel Rein, A.<sup>2</sup>

<sup>1</sup>Servicio de Neurología. Hospital Virgen Macarena; <sup>2</sup>Servicio de Neurología. Hospital Ruber Internacional.

**Objetivos:** El síndrome de punta-onda continua durante el sueño de ondas lentas (POCS) es una encefalopatía epiléptica del desarrollo (EED). La fenfluramina (FFA) es un fármaco aprobado para su uso en EDD como son el síndrome de Dravet (SD) y síndrome de Lennox-Gastaut (SLG). Nuestro objetivo es evaluar la eficacia y seguridad de FFA en pacientes con POCS.

**Material y métodos:** Evaluar eficacia y seguridad de FFA en pacientes POCS a través de un ensayo intervencionista prospectivo abierto, estudio FENDEEP (NCT05232630). Se incluyeron pacientes POCS refractarios a > 3 medicamentos anticrisis (MAC) entre 2022-2023.

**Resultados:** Muestra de 6 pacientes (2 niñas). La mediana de edad al diagnóstico fue de 9 años (4-10). La mediana de MAC concomitante fue 2,5 (2-4), la mediana de SWI (*spike-wave-index*) fue 82,5% (70-90), 2/6 presentaban crisis electroclínicas y 6/6 discapacidad intelectual. Tras una mediana de seguimiento de unos 12 meses (9-13), la dosis mediana de FFA fue de 0,73 mg/kg/día (0,33-0,9), 5/6 presentaron mejoría cognitiva según escala CGI-I y en 3/5 se redujo el SWI > 20%. El inventario BRIEF2 reveló mejoría de la función ejecutiva. Fue posible una reducción de MAC en 4 pacientes, mejorando la frecuencia de crisis en 2 pacientes. Ningún paciente POCS suspendió FFA. 2 pacientes presentaron efectos adversos (EAs) leves.

**Conclusión:** La fenfluramina es segura y podría ser eficaz para reducir tanto el SWI como el deterioro cognitivo asociado en pacientes POCS. Se necesitan estudios con mayor tamaño muestral y estudios controlados ciegos para poder confirmar esta hipótesis.

### 21210. TENDENCIAS ACTUALES EN EL INICIO Y EFICACIA CLÍNICA DE CENOBAMATO: EXPERIENCIA CLÍNICA

Boy García, B.<sup>1</sup>; López-Maza, S.<sup>2</sup>; Quintana, M.<sup>2</sup>; Campos-Fernández, D.<sup>2</sup>; Fonseca, E.<sup>2</sup>; Abaira, L.<sup>2</sup>; Santamarina, E.<sup>2</sup>; Toledo, M.<sup>2</sup>

<sup>1</sup>Servicio de Neurología. Hospital Universitari Vall d'Hebron; <sup>2</sup>Unidad de Epilepsia. Servicio de Neurología. Hospital Universitari Vall d'Hebron.

**Objetivos:** Evaluar el cambio en la tendencia del uso de cenobamato y la eficacia clínica del mismo en pacientes con epilepsia.

**Material y métodos:** Estudio observacional unicéntrico de pacientes que iniciaron cenobamato (CNB) entre enero 2021 y diciembre 2023.