



## EM-014 - EVOLUCIÓN CLÍNICA DE LOS PACIENTES CON AMILOIDOSIS HEREDITARIA POR TRANSTIRRETINA TRATADOS CON INOTERSEN

J. González Moreno<sup>1</sup>, A. Rodríguez Rodríguez<sup>1</sup>, E. Cisneros Barroso<sup>1</sup>, M. Uson Martín<sup>2</sup>, C. Descals Moll<sup>2</sup>, T. Ripoll Vera<sup>3</sup>, M.A. Ferrer Nadal<sup>4</sup> e I. Losada López<sup>1</sup>

<sup>1</sup>Medicina Interna, <sup>2</sup>Neurología, <sup>3</sup>Cardiología, <sup>4</sup>Nefrología. Hospital Universitario Son Llàtzer. Palma (Illes Balears).

### Resumen

**Objetivos:** Valorar la evolución de los pacientes con amiloidosis hereditaria por transtirretina VAL50MET (hATTR) con polineuropatía tratados con Inotersen (248 mg SC semanal) en nuestro centro.

**Métodos:** Se recoge información retrospectivamente de todos los pacientes tratados con Inotersen en nuestro centro. Se valoran especialmente los resultados del NIS y del electromiograma, así como los efectos adversos (AEs) relacionados con el fármaco. Se recogen también los resultados del hemograma realizado cada 15 días.

**Resultados:** Desde julio de 2019, 4 pacientes han sido tratados con Inotersen en nuestro centro (tabla). Uno de ellos (paciente 4) dejó el tratamiento por diferentes AEs (mareos y náuseas el día de la inyección y leucopenia). En la visita de seguimiento a los seis meses de inicio del tratamiento, el NIS de los pacientes 1 y 2 se había estabilizado/mejorado (paciente 1:  $81,5 \pm 80,5$ ; paciente 2:  $40 \pm 29,5$ ), así como los electromiogramas de ambos, que no mostraban cambios significativos con respecto al previo. El recuento de plaquetas, realizado cada dos semanas, únicamente mostró para el paciente 1 dos determinaciones puntuales con trombocitopenia (plaquetas  $< 100 \times 10^9/L$ ), que se resolvió sin necesidad de interrumpir en ningún momento el tratamiento. El paciente 3 tiene buena adherencia y tolerancia al tratamiento, a falta de valorar la progresión clínica a los seis meses de inicio. Los únicos efectos adversos reportados fueron: mareos y náuseas el día de la inyección (paciente 4), leucopenia (paciente 4), trombocitopenia (paciente 1), y hematoma en la zona de la inyección (paciente 1).

#### Características de los pacientes tratados con Inotersen

Paciente	Sexo	Edad	Fecha Inicio Inotersen	Fecha fin Inotersen	Tratamiento previo	Estadio PND
Paciente 1	Hombre	66 años	Julio 2019	Ongoing	Ninguno	II
Paciente 2	Mujer	66 años	Noviembre 2019	Ongoing	Tafamidis	I

Paciente 3	Hombre	72 años	Enero 2020	Ongoing	Tafamidis	I
Paciente 4	Mujer	77 años	Noviembre 2020	Enero 2020	Ninguno	II

*Conclusiones:* Los pacientes tratados con Inotersen en nuestro centro presentan estabilidad clínica a los seis meses del tratamiento, a expensas de observar la evolución a más largo plazo. Salvo en un paciente, los eventos adversos han sido leves y no han supuesto la interrupción del tratamiento.

### **Bibliografía**

1. Benson MD, Waddington-Cruz M, Berk JL, et al. Inotersen Treatment for Patients with Hereditary Transthyretin Amyloidosis. N Engl J Med. 2018;379(1):22-31.