



559 - TAFAMIDIS EN AMILOIDOSIS POR TRANSTIRRETINA VARIANTE: EXPERIENCIA EN VIDA REAL DE UN CENTRO DE ÁREA ENDÉMICA

Juan González Moreno, Inés Losada López, María Eugenia Cisneros Barroso, Adrián Rodríguez Rodríguez, Mercedes Usón Martín y Cristina Descals Moll

Hospital Universitario Son Llàtzer, Palma de Mallorca.

Resumen

Objetivos: Tafamidis fue el primer tratamiento aprobado en España para la polineuropatía por amiloidosis por transtirretina variante (ATTRv). Su eficacia ha sido demostrada en varios ensayos clínicos así como en registros y cohortes retrospectivas. Sin embargo, el análisis de su uso en nuestro país no ha sido publicado. El objetivo de este trabajo es describir la experiencia con tafamidis en nuestro centro, situado en el principal foco endémico de la enfermedad en España, Mallorca.

Métodos: Estudio retrospectivo de la cohorte ATTRv tratada con tafamidis durante al menos 1 año en el Hospital Universitario Son Llàtzer desde 07/2014-07/2022. Se evaluaron variables clínicas (NIS, fenotipo clínico), de laboratorio (TTR, FG, prots, vit A, RBP) y electroneurográficas (CMAP, SNAP, ESC). Definiciones: respondedor (R): ausencia de progresión clínica de la PNP (cambio NIS 4 y < 14); no respondedores (NR): progresión clínica o ausencia de estabilización clínica.

Resultados: En total 28 pacientes (15 mujeres, 53%) con una mediana de edad de 68 años (24-83) iniciaron tafamidis. Catorce (50%) abandonaron el tratamiento: 2 por *exitus* no relacionados con el fármaco, 1 por efecto adverso, 1 por enfermedad grave concomitante (dermatomiositis) y 10 por progresión. La mediana de la duración del tratamiento con tafamidis fue de 3 años (1-6,7). En total 14 pacientes (50%) fueron R, 12 (42,9%) RP y 2 (7,1%) NR. Las principales características de la cohorte se describen en la tabla 1. No se encontraron diferencias significativas en las variables analizadas si bien sí hay una tendencia a un mayor CMAP en los pacientes con respuesta total (implica menor afectación vertiente motora en el ENG). Asimismo, observamos una mayor edad, más pacientes *late-onset*, un NIS más bajo y un ESC mayor en los respondedores. Destacar asimismo un mayor porcentaje de pacientes sin afectación de fibra gruesa entre los respondedores.

Características principales de la cohorte

| | Respondedores (n = 14) | Respondedores parciales (n = 12) | No respondedores (n = 2) |
|-------------|------------------------|----------------------------------|--------------------------|
| Mujeres (%) | 8 (57,1%) | 6 (50%) | 1 (50%) |

| | | | |
|------------------------------|--------------|-------------|-----------------|
| Mediana edad (años; min-máx) | 72 (37-83) | 60 (24-83) | 73 años (72-74) |
| Late onset (%) | 11 (78,6%) | 8 (66,6%) | 2 (100%) |
| Mediana NIS inicio (min-máx) | 2,5 (0-16) | 7,5 (0-100) | 7,5 (4-100) |
| Fibra gruesa (%) | 11 (78,6%) | 11 (91,7%) | 2 (100%) |
| Media CMAP (mV; DE) | 11,4 (3,5) | 8,5 (3,6) | NA |
| Media ESC (μ S; DE) | 137,4 (29,3) | 116 (33,9) | NA |

Conclusiones: En nuestra experiencia, tafamidis obtiene una buena tasa de respuesta (92,8%) para el tratamiento de la PNP por ATTRv. Los pacientes con mejor respuesta clínica presentaban un menor grado de afectación motora en el EMG. Además, tendían a presentar una afectación más precoz (menor NIS, mayor ESC, menor afectación de fibra gruesa), remarcando la importancia del diagnóstico e inicio de tratamiento precoz.