

Terapia Genica Congresos

Novedades en Congresos 2024: los últimos avances terapéuticos

Te presentamos un documento con el resumen de toda la información profesional con las novedades científicas que se presentaron en los congresos **SMA Conference 2024, WMS e ICNMD 2024, SMA 2023.**

Onasemnogene Abeparvovec

Image

Reviva los mensajes clave de algunos congresos de 2024 sobre la Atrofia Muscular Espinal

- Mensajes clave de estudios de seguimiento a largo plazo

Onasemnogene Abeparvovec:

LT-002 (WMS 2024 e ICNMD 2024):



Una única administración intravenosa o intratecal de onasemnogene abeparvovec Mostró una eficacia consistente, sustancial y duradera posterior a 6,6 años de seguimiento desde la dosificación.



66 de 68 (97,1%) pacientes en la cohorte intravenosa y los 18 pacientes en la cohorte intratecal están vivos y libres de ventilación permanente en el momento del corte de datos.



Los requerimientos de soporte respiratorio y nutricional en pacientes con AME tipo 1, tratados con onasemnogene abeparvovec, fueron menores a los observados en la historia natural de la enfermedad.



Se observaron nuevos hitos motores en 34 (39,5%) pacientes en LT-002, y, en general, 57 (66,3%) pacientes alcanzaron un nuevo hito motor o habían alcanzado todos los hitos motores en el estudio principal.



Todos los pacientes tratados presintómicamente alcanzaron todos los hitos motores evaluados, incluyendo caminar solo.



No se han observado nuevas señales de seguridad en pacientes sintomáticos o presintomáticos que recibieron onasemnogene abeparvovec, lo que respalda un perfil riesgo-beneficio favorable.



Estudio RESTORE WMS 2024

Image

Estudio RESTORE WMS 2024:



Hallazgos de seguridad a largo plazo y en el mundo real del estudio RESTORE son consistentes con el perfil de seguridad establecido para OA.



El análisis de prevalencia de intervalos y tiempo a inicio, demostró que la mayoría de los Eventos adversos de especial interés, ocurrieron dentro de los primeros 3 meses posterior a la Infusión de OA, y no se observaron toxicidades a largo plazo o de aparición tardía durante un período de seguimiento de 5 años.



Los Eventos adversos emergentes con el tratamiento fueron consistentes con el perfil de seguridad establecido de OA, lo que sugiere que no se observó un mayor riesgo de estos en la muestra de pacientes con traqueotomías.



La mayoría de los pacientes sobrevivieron hasta el final del seguimiento (30 de 34).



Casi el 75% de los pacientes habían mejorado o estabilizado su capacidad motora independientemente de si la colocación de la traqueotomía fue antes o después de la aplicación de OA.



Considerando que la mayoría de los pacientes se estabilizaron o mejoraron en la función motora y/o en los logros de hitos, es posible que los pacientes con AME que requieren soporte ventilatorio puedan beneficiarse del tratamiento con OA a pesar de la naturaleza progresiva de deterioro respiratorio que se observa típicamente con AME.



Estudio OFELIA WMS 2024

Image

**Estudio Ofelia
WMS 2024:**

OFELIA confirma que onasemnogene abeparvovec es seguro y eficaz para pacientes que pesen hasta 17 kg y hasta 24 meses de edad y para pacientes de ubicaciones geográficas diferentes a las estudiadas previamente.

La mayoría de los pacientes (10/12; 83,3%) pudieron sentarse sin apoyo al final del estudio.

La mayoría de los pacientes demostraron mantenimiento o mejoría de los hitos motores hasta 18 meses después del tratamiento. Estos hallazgos contrastan la Historia natural del deterioro progresivo de la función motora en pacientes con AME.

Los pacientes también demostraron una mejora en la capacidad de deglutir y alimentarse oralmente. La calidad de vida asociada a la salud, mejoró en términos de limitaciones físicas e impacto sobre los cuidadores.

Estudio SHINE

Image

NUSINERSEN

Nusinersen fue bien tolerado durante el seguimiento a largo plazo, los eventos adversos fueron generalmente consistentes con los síntomas de AME observados en bebés y niños o con los eventos observados con procedimientos de punción lumbar intratecal.

Nusinersen fue bien tolerado durante el seguimiento a largo plazo, los eventos adversos fueron generalmente consistentes con los síntomas de AME observados en bebés y niños o con los eventos observados con procedimientos de punción lumbar intratecal.

Los hallazgos demuestran la seguridad y eficacia a largo plazo de nusinersen en pacientes sintomáticos durante una mediana de seguimiento de 6,8 años.

La mayoría de los participantes con inicio tardío lograron mejoras clínicamente significativas en RULM o HFMSE.

En esta cohorte no ambulatoria, las mejoras a largo plazo en la función motora fueron más comúnmente encontradas en el RULM que en el HFMSE y la evaluación de estas medidas se vio afectada por la cirugía de escoliosis.

Estudio SHINE



Estudio FireFish



Image

Risdiplam



Novartis de Colombia S.A. Calle 93B No. 16-31. PBX 654 44 44. Bogotá, D.C. Novartis Pharma, AG de Basilea, Suiza ® = Marca registrada. Material dirigido a profesionales de la salud. Mayor información en el Departamento Médico de Novartis S.A Colombia: 6544444 informacion.cientica@novartis.com. Si desea reportar un evento adverso ingrese al siguiente link: www.novartis.com/report o a través del correo electrónico: colombia.farmacovigilancia@novartis.com. No se autoriza la grabación o toma de fotografías del material y tampoco difusión por medios no autorizados por Novartis. Este material no pretende sustituir o reemplazar una decisión clínica ni terapéutica. Este material no es promocional en lenguaje, apariencia o intención. Si se hace alusión a productos o indicaciones no aprobados por la autoridad regulatoria del país, será bajo el estricto propósito educativo, de genuino intercambio científico y para incluir las alternativas de tratamiento de forma balanceada, completa y vigente. Fecha de aprobación: 16/may/2025. Fecha de Caducidad: 16/may/2027. ID del contenido: FA-11411921.

Source URL: <https://www.pro.novartis.com/co-es/terapia-genica-congresos>