

Uso compassionevole del cenobamato: dati dall'esperienza clinica nazionale

R. Roberti¹, S. Lattanzi², G. Assenza³, G. Boero⁴, L. Canafoglia⁵, V. Chiesa⁶, C. Di Bonaventura⁷, M. Elia⁸, E. Ferlazzo⁹, A. Gambardella¹⁰, A. Giordano¹¹, A. La Neve¹², C. Liguori¹³, S. Meletti¹⁴, F. Operto¹, N. Pietrafusa¹⁵, M. Puligheddu¹⁶, E. Rosati¹⁷, E. Tartara¹⁸, P. Tinuper¹⁹, G. Vatti²⁰, F. Villani²¹, E. Russo¹, G. Di Gennaro¹, G. Di Gennaro²²

¹ Dipartimento di Scienze della Salute, Università degli Studi "Magna Graecia" di Catanzaro

² Clinica Neurologica, Dipartimento di Medicina Sperimentale e Clinica, Università Politecnica delle Marche, Ancona

³ Unità di Neurologia, Neurofisiologia e Neurobiologia, Dipartimento di Medicina, Università Campus Bio-Medico, Roma

⁴ S. C. di Neurologia, Ospedale Santissima Annunziata, Taranto

⁵ S. S. Diagnostica Epilettologica Integrata, Fondazione IRCCS Istituto Neurologico Besta, Milano

⁶ Centro Epilessia "R. Canger" - Neurologia dell'età evolutiva - ASST Santi Paolo Carlo, Milano

⁷ Dipartimento di Neuroscienze Umane, Università degli Studi di Roma "La Sapienza", Roma

⁸ U.O.C. di Neurologia e Neurofisiopatologia Clinica e Strumentale, IRCCS Oasi Maria SS, Troina

⁹ Centro Regionale Epilessie, GOM "Bianchi-Melacrino-Morelli", Reggio Calabria

¹⁰ Istituto di Neurologia, Dipartimento di Scienze Mediche e Chirurgiche, Università degli Studi "Magna Graecia" di Catanzaro

¹¹ Dipartimento di Scienze Mediche e Chirurgiche Avanzate, Università degli Studi della Campania "Luigi Vanvitelli", Napoli

¹² Dipartimento di biomedicina traslazionale e neuroscienze, Università degli Studi di Bari "Aldo Moro"

¹³ Dipartimento di Medicina dei Sistemi, Università degli Studi di Roma Tor Vergata, Roma

¹⁴ Dipartimento di Scienze Biomediche, Metaboliche e Neuroscienze, Università di Modena e Reggio Emilia

¹⁵ Neurologia dell'Epilessia e Disturbi del Movimento, IRCCS Ospedale Pediatrico Bambino Gesù, Roma

¹⁶ Dipartimento di Scienze Mediche e Sanità Pubblica, Università degli Studi di Cagliari

¹⁷ SOD Neurologia 2, Dipartimento Neuromuscoloscheletrico e degli Organi di Senso, AOU Careggi, Firenze

¹⁸ Centro Epilessia, IRCCS Fondazione Mondino, Pavia

¹⁹ IRCCS Istituto delle Scienze Neurologiche di Bologna

²⁰ Dipartimento di Scienze mediche, chirurgiche e neuroscienze, Università degli Studi di Siena

²¹ Centro Regionale per la Diagnosi e la Cura dell'Epilessia, U.O. Neurologia e Servizio di Neurofisiopatologia, IRCCS Ospedale Policlinico San Martino, Genova

²² IRCCS Neuromed, Pozzilli

Valutare l'efficacia, la tollerabilità e l'impatto sulle terapie concomitanti di cenobamato.

Sono stati retrospettivamente raccolti i dati da 21 Centri italiani partecipanti al programma di uso compassionevole di cenobamato. L'efficacia è stata valutata come tasso di risposta (riduzione $\geq 50\%$ della frequenza delle crisi), percentuale di pazienti liberi da crisi, e variazione percentuale mediana della frequenza di crisi rispetto al basale; mentre la tollerabilità come tasso di reazioni avverse. Infine, sono stati riportati il tasso di dropout e la variazione percentuale della dose definita giornaliera (DDD) per ciascun gruppo di farmaci anticrisi (ASMs) concomitanti dopo 12 mesi di trattamento. Sono stati estratti i dati di 236 pazienti (53.8% femmine, età mediana 38 anni), con una frequenza basale mediana di 15 crisi/mese, un numero mediano di 7 ASMs pregressi e 3 concomitanti. Dopo 12 mesi di trattamento, la percentuale di pazienti responder e seizure-free è stata rispettivamente del 57.9% e del 14%, con una riduzione mediana della frequenza di crisi del 75%. Il 56.3% della coorte ha sperimentato almeno un evento avverso (principalmente sonnolenza e vertigini), nessuno di questi grave. Il tasso di dropout è stato complessivamente del 21%, principalmente per inefficacia (16/38 casi). Nel 47% dei pazienti è stato sospeso almeno un ASM concomitante, riducendo soprattutto la DDD dei sodio bloccanti (-23.08%; Q1=-56.23%, Q3=0). I risultati di questo studio supportano l'efficacia di cenobamato anche nei pazienti con epilessia altamente farmaco-resistente, con eventi avversi di entità lieve-moderata e un impatto sul tipo/posologia di ASMs concomitanti.

5-7 giugno 2024