Rev Clin Esp. 2020;220(Espec Congr):218

Revista Clínica Española

https://www.revclinesp.es

EM-015 - EFECTO DE PATISIRAN, UN FÁRMACO BASADO EN ARNI, SOBRE LOS SÍNTOMAS DE DIARREA EN PACIENTES CON AMILOIDOSIS HEREDITARIA POR TRANSTIRETINA

I. Losada[1], J. González-Moreno[1], E. Cisneros-Barroso[1], L. Obici[2], A. González-Duarte[3], M. Waddington- Cruz[4], Q. Dinh[5] y M. Ueda[6]

[1]Medicina Interna/UM AhTTR. Hospital Universitario Son Llàtzer. Palma de Mallorca (Illes Balears). [2]Fondazione IRCCS. Policlinco San Matteo. Pavia, Italia. [3]Amyloid Research and Treatment Center, Biotechnology Research. Instituto Nacional de Ciencias Médicas y Nutrición, Salvador Zubirán. Mexico City, México. [4]Federal University of Rio de Janeiro. Hospital Universitario Clementino Fraga Filho. Río de Janeiro, Brasil. [5]Alnylam Pharmaceuticals. Cambridge, EEUU. [6]Department of Neurology, Graduate School of Medical Sciences. Kumamoto University Hospital. Kumamoto, Japón.

Resumen

Objetivos: En el estudio APOLLO en fase 3, patisiran demostró mejoría en la disautonomía valorada mediante los cuestionarios COMPASS-31 y Norfolk QOL-DN. Este análisis realiza una evaluación adicional del efecto de patisiran sobre la diarrea.

Material y métodos: APOLLO fue un estudio internacional, aleatorizado (2:1), doble ciego, controlado con placebo realizado con patisiran 0,3 mg/kg o placebo iv. cada 3 semanas en pacientes con polineuropatía por AhTTR (NCT01960348). Se evaluó la variación de la diarrea y la gravedad en base a los cuestionarios COMPASS-31 y Norfolk QOL-DN.

Resultados: El estudio APOLLO incluyó a 225 pacientes: mediana de edad 62 años, 74% varones, 43% V30M, FAP estadio 1 46% y estadio 2 53%. En el momento basal, dos tercios comunicaron episodios de diarrea de leves a graves en el año previo al cuestionario COMPASS-31. Después de 18 meses, 18% de los tratados con patisiran mejoraron los síntomas de diarrea frente a 5% del grupo control. Además un 54% de los tratados con patisiran frente a un 42% del grupo de placebo describieron una estabilidad en la gravedad de la misma. En el cuestionario Norfolk QOL-DN, un mayor número de pacientes tratados con placebo progresaron de diarrea moderada a grave y/o sufrieron pérdida de control intestinal a los 18 meses vs placebo (43% vs 33%, respectivamente); menos pacientes tratados con patisiran presentaron síntomas moderados o graves a los 18 meses vs placebo (27% vs 34%, respectivamente).

Discusión: Al cabo de 18 meses, patisiran se asoció a una mejoría o estabilización de la diarrea frente a placebo según los análisis basados en preguntas de cuestionarios completados por los pacientes.

Conclusiones: Estos datos refuerzan el beneficio clínico de patisiran sobre los síntomas vegetativos debilitantes de la AhTTR.

Bibliografía

1. Gertz MA, Kyle RA, Thibodeau SN. Familial amyloidosis: A study of 52 North American-born patients examined during a 30-year period. Mayo Clin Proc. 1992;67:428-40.
2. Consortium AR. The Voice of the Patient Report 2016, June 7 2016. Disponible en: https://www.arci.org/wp- content/uploads/2018/05/Voice-of-the-Patient.pdf

0014-2565 / © 2020, Elsevier España S.L.U. y Sociedad Española de Medicina Interna (SEMI). Todos los derechos reservados.