



## EM-011 - EFICACIA DE PATISIRAN EN PACIENTES CON AMILOIDOSIS AHTTR TRATADOS PREVIAMENTE CON TAFAMIDIS: ANÁLISIS DEL ESTUDIO APOLLO

J. González-Moreno<sup>1</sup>, I. Losada López<sup>1</sup>, H. Lin<sup>2</sup>, L. Obici<sup>3</sup>, V. Planté-Bordeneuve<sup>4</sup>, M. de Andrés<sup>5</sup>, R. Riese<sup>6</sup> y O. B Suhr<sup>7</sup>

<sup>1</sup>Medicina Interna. Hospital Universitario Son Llàtzer. Palma de Mallorca (Illes Balears). <sup>2</sup>Alnylam Pharmaceuticals. Cambridge, EEUU. <sup>3</sup>Fondazione IRCCS Policlinico San Matteo. Pavia, Italia. <sup>4</sup>Henri Mondor Hospital-Assistance Publique-East Paris-Créteil. Paris, Francia. <sup>5</sup>Alnylam Pharmaceuticals España. Madrid. <sup>6</sup>Department of Public Health and Clinical Medicine. Department of Public Health and Clinical Medicine. <sup>7</sup>Umeå University. Umeå, Suecia.

### Resumen

**Objetivos:** La es una enfermedad multisistémica y potencialmente mortal. Patisiran, un fármaco basado en ARNi, y tafamidis, un estabilizador de tetrámeros de TTR, son tratamientos aprobados para pacientes con polineuropatía por amiloidosis hereditaria por TTR (AhTTR). En el estudio fase 3 APOLLO, patisiran demostró una mejoría significativa en la polineuropatía y calidad de vida (QoL) basal a los 18 meses comparado con placebo. El objetivo es evaluar el efecto de patisiran en los pacientes que habían recibido tafamidis antes de participar en el estudio APOLLO.

**Material y métodos:** APOLLO es un estudio aleatorizado, controlado con placebo, realizado con patisiran en pacientes con polineuropatía por AhTTR (NCT01960348). Los pacientes tratados con tafamidis suspendieron el tratamiento con tafamidis  $\geq 14$  días antes de entrar en el estudio; se registró el motivo de la suspensión. Se evaluaron mediante análisis post-hoc los resultados de la escala mNIS+7 y de la escala Norfolk QOL-DN.

**Resultados:** APOLLO incluyó a 225 pacientes, 74 (32,9%) habían recibido previamente tafamidis. La duración media (DE) del tratamiento con tafamidis fue de 17,4 (16,1) meses; 25 (33,8%) de estos pacientes suspendieron el tratamiento con tafamidis debido a progresión, y 46 (62,2%) para participar en el estudio APOLLO. Estos pacientes demostraron una mejoría significativa en la escala mNIS+7 y el cuestionario Norfolk QOL-DN vs basal a los 18 meses (n = 45 para ambos criterios de valoración) comparado con placebo (n = 15 para el mNIS+7 y n = 14 para el Norfolk QOL-DN) (variación media MC (EEM) mNIS+7: -6,2 (2,4) vs 20,8 (3,8); variación media MC (EEM) Norfolk QOL-DN: -0,8 (2,8) vs 15,1 (4,4), respectivamente).

**Conclusiones:** Aproximadamente 1/3 de los pacientes del estudio APOLLO habían recibido previamente tafamidis. Éstos, al ser tratados con patisiran durante 18 meses mostraron una mejoría significativa de la neuropatía y calidad de vida, comparado con placebo, similar a la presentada por la población total tratada con patisiran.

### Bibliografía

1. Adams D, González Duarte A, O’Riordan WD, Yang CC, Ueda M, et al. Patisiran, an RNAi Therapeutic, for Hereditary Transthyretin Amyloidosis. *N Engl J Med.* 2018;379(1):11-21.