



## EM-014 - EFICACIA Y SEGURIDAD A LARGO PLAZO DE PATISIRAN EN PACIENTES CON AMILOIDOSIS AHTTR: ESTUDIO DE EXTENSIÓN NO ENMASCARADO

A. González Macía<sup>1</sup>, C. Borrachero Garro<sup>1</sup>, F. Muñoz Beamud<sup>1</sup> y C. García López<sup>2</sup>

<sup>1</sup>Medicina Interna. Complejo Hospitalario de Especialidades Juan Ramón Jiménez. Huelva. <sup>2</sup>Alnylam Pharmaceuticals España. Madrid.

### Resumen

**Objetivos:** Evaluar los datos de seguridad y eficacia de un análisis intermedio del estudio de extensión no enmascarado (Global Open-Label extension, OLE).

**Material y métodos:** Estudio de eficacia y seguridad multicéntrico, internacional, de extensión abierta que incluyó a los pacientes que completaron los estudios iniciales: pacientes APOLLO (APOLLO/placebo, n = 49 y APOLLO/patisiran, n = 137) y pacientes del estudio en fase 2 (n = 25). La respuesta clínica se evaluó mediante la escalas mNIS+7 y Norfolk QOL-DN.

**Resultados:** El estudio OLE comprende 211 pacientes de los que estuvieron disponibles para análisis 189 con un seguimiento de 12 meses. El perfil de seguridad fue similar al de los estudios previos. Tras 12 meses adicionales con patisiran, se observó una mejoría sostenida en la escala mNIS+7 (variación media [EEM]) tanto en el grupo APOLLO/patisiran (-4,0 [1,9]) como en el estudio en fase 2 (-4,7 [3,5]) respecto a los valores basales de los estudios originales. Asimismo, se observó una mejoría sostenida en la escala Norfolk QOL-DN (solo datos basales de estudio APOLLO) en los pacientes APOLLO/patisiran (-3,9 [2,1]). Aunque los pacientes APOLLO/placebo presentaron mejoría tras 12 meses de tratamiento con patisiran (media mNIS+7: -1,4 [2,4], Norfolk QOL-DN: -4,5 [2,5]), sí progresaron respecto a los valores basales del estudio APOLLO (mNIS+7: +24,0 [4,2], Norfolk QOL-DN: +15,0 [3,4]) debido al avance de la enfermedad registrado mientras estuvieron recibiendo placebo en el estudio APOLLO.

**Conclusiones:** El tratamiento con patisiran a largo plazo mantiene un perfil favorable de beneficio/riesgo incluso en los pacientes tratados durante 4 años, especialmente en los pacientes con una mayor exposición temporal a patisiran. Aquellos no tratados previamente, mostraron un enlentecimiento de la progresión y una mejoría en la calidad de vida tras pasar a 12 meses de tratamiento con patisiran, a pesar de la notable progresión de la enfermedad mientras recibieron placebo acumulando una mayor carga de enfermedad.

### Bibliografía

1. Adams D, Suhr OB, Dyck PJ, Litchy WJ, Leahy RG, Chen J, et al. Trial design and rationale for APOLLO, a Phase 3, placebo-controlled study of patisiran in patients with hereditary ATTR amyloidosis with polyneuropathy. BMC Neurol. 2017;17(1):181.
- 0014-2565 / © 2020, Elsevier España S.L.U. y Sociedad Española de Medicina Interna (SEMI). Todos los derechos reservados.