



## EM-013 - MANIFESTACIONES DISAUTONÓMICAS DE LA AMILOIDOSIS HEREDITARIA POR TRANSTIRRETINA (AHTTR): EFICACIA Y SEGURIDAD A LARGO PLAZO EN EL ESTUDIO DE EXTENSIÓN NO ENMASCARADO CON PATISIRAN

A. González Maciá<sup>1</sup>, F. Muñoz Beamud<sup>1</sup>, C. Borrachero Garro<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 intermedios relativos a la disautonomía del estudio de extensión con patisiran, actualmente en marcha.

**Material y métodos:** Revisión de los datos de disautonomía de pacientes que completaron el estudio APOLLO de los grupos placebo (APOLLO/placebo, n = 49) y patisiran (APOLLO/patisiran, n = 137) y del estudio de extensión abierta en fase 2 (n = 25). Para la evaluación de la disautonomía se utilizaron la escala COMPASS-31 (Composite Autonomic Symptom Score-31) y el índice de masa corporal modificado (IMCm).

**Resultados:** Se incluyeron 211 pacientes de los que 189 habían completado la visita de seguimiento de los 12 meses a septiembre de 2018. El perfil de seguridad fue similar al de estudios previos. Tras 12 meses de tratamiento con patisiran, se observó una mejoría sostenida en la escala COMPASS-31 (variación media [error estándar de la media]) en los pacientes APOLLO/patisiran (-4,0 [1,5]) y una estabilización en los del estudio de extensión abierta en fase 2 (0,1 [2,1]) respecto a los valores basales de los estudios originales. Tras 12 meses de tratamiento con patisiran, los pacientes APOLLO/placebo presentaron mejoría en los síntomas disautonómicos (COMPASS-31: -3,7 [2,1]). Durante el estudio de extensión se observó una mejoría del IMCm respecto al valor basal en todos los grupos.

**Conclusiones:** El tratamiento a largo plazo con patisiran se asoció a una mejoría sostenida y duradera de la disautonomía. En los pacientes que habían recibido placebo previamente durante el estudio APOLLO, la disautonomía se estabilizó tras 12 meses de tratamiento con patisiran. El grado de mejora en la disautonomía en estos pacientes fue menor por la progresión de la enfermedad observada durante el periodo en que estuvieron recibiendo placebo.

### 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.