Rev Clin Esp. 2020;220(Espec Congr):873

Revista Clínica Española

https://www.revclinesp.es

EM-010 - TAFAMIDIS EN AMILOIDOSIS POR TRANSTIRRETINA: EXPERIENCIA DE UN CENTRO

J. González-Moreno, I. Losada López, E. Cisneros Barroso, M. Usón Martín, C. Descals Moll, C. Montala Reig, T. Ripoll Vera y J. Buades Reines

Unidad Multidisciplinar de Amiloidosis por TTR. Hospital Universitario Son Llàtzer. (Illes Balears).

Resumen

Objetivos: Tafamidis es actualmente el único tratamiento aprobado en España para la amiloidosis hereditaria por transtirretina (AhTTR). El objetivo de este trabajo es describir la experiencia con tafamidis en nuestro centro.

Material y métodos: Estudio retrospectivo de la cohorte AhTTR tratada con tafamidis en Hospital Son Llàtzer desde 07/2014-06/2019. Definiciones: respondedor (R) cuando la clínica no progresa, respondedores parciales (RP) cuando la clínica progresa lentamente o presentan mejoría de la disautonomía, y no respondedores (NR) cuando la progresión clínica no se detiene ni se ralentiza.

Resultados: En total 20 pacientes (10 mujeres) con una media de edad de 58,2 años (DE 16,2) iniciaron tafamidis. Cuatro (20%) abandonaron el tratamiento: 1 por exitus no relacionado, 1 por efecto adverso y 2 por progresión. La mediana de la duración del tratamiento con tafamidis fue de 2,1 años (rango 1 mes-4,9 años). De los 12 pacientes en tratamiento con tafamidis durante > 1 año, 6 (50%) fueron R, 4 (33,3%) RP y 2 (16,6%) NR. Los R (3 varones, 3 mujeres) tenían una mediana de edad de 72 años (rango 48-79), siendo 5 de ellos (83,3%) pacientes de inicio tardío (> 50 años). Mediana de seguimiento 2,9 años (1,9-4,9). Los RP (2 varones, 2 mujeres) tenían una mediana de edad de 52 años (33-61) siendo 2 de ellos pacientes de inicio tardío. Mediana de seguimiento de 2,8 años (2,3-3,8). Los NR (1 varón, 1 mujer), tenían una mediana de edad de 41,5 años (24-59) siendo uno de ellos de inicio tardío. Mediana de seguimiento de 1,2 años (1,1-1,4).

Discusión: Un grupo portugués ha publicado su experiencia con tafamidis: siendo R (34,3%), RP (36,2%) y NR (29,5%). Los resultados, peores, son de una cohorte mayor (201 pacientes), si bien, dados nuestros hallazgos, podrían estar justificados por una población más joven (34,1 años). Al contrario, nosotros no encontramos diferencias entre sexos.

Conclusiones: El tafamidis es un tratamiento efectivo en la mayoría de nuestros pacientes (83,3%). Los respondedores tienden a ser más mayores.

Bibliografía

1. Monteiro C, Mesgazardeh JS, Anselmo J, Fernandes J, Novais M, Rodrigues C, et al. Predictive model of response to tafamidis in hereditary ATTR polyneuropathy. JCI Insight. 2019;4(12).

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