



741 - AVANCES TERAPÉUTICOS EN LA AMILOIDOSIS POR TRANSTIRRETINA VARIANTE: EVIDENCIA EN VIDA REAL DE LA EFICACIA Y SEGURIDAD DE LOS SILENCIADORES DEL GEN *TTR*

Alicia Morín Salazar, Cristina Bayón González, Sandra Gregorio Malagón, Paula Cases Pellisé, María Eugenia Cisneros Barroso, Adrián Rodríguez Rodríguez, María Antonia Ribot Sansó y Juan González Moreno

Hospital Universitario Son Llàtzer, Palma de Mallorca, España.

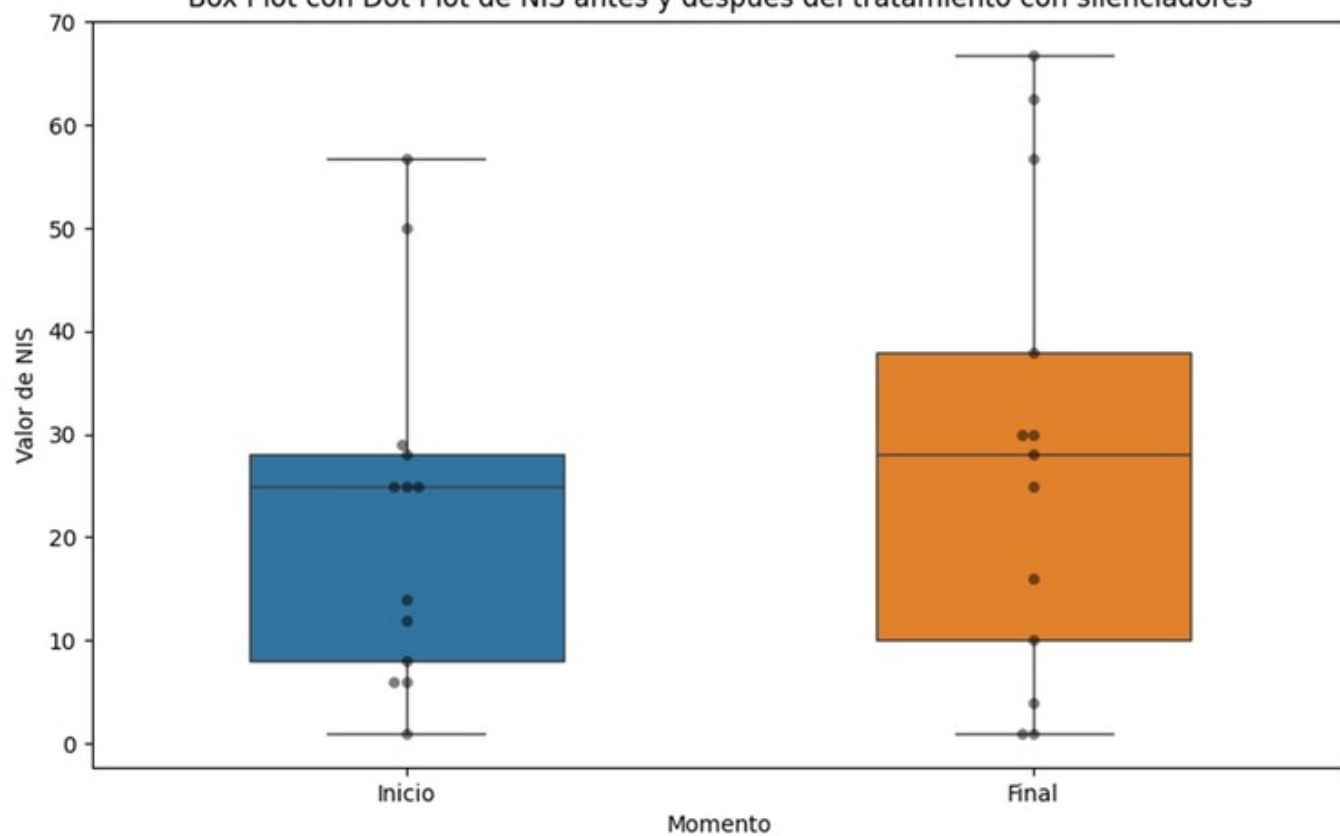
Resumen

Objetivos: La amiloidosis por transtirretina variante (A-ATTRv) es una enfermedad rara, progresiva y mortal causada por depósitos amiloides de proteína transtirretina mal plegada, que afecta principalmente al sistema nervioso periférico y al corazón. Recientemente, se han autorizado tratamientos con silenciadores del gen TTR, como patisirán e inotersén, que han mostrado resultados prometedores en la reducción de los síntomas y la progresión de la enfermedad. El objetivo del estudio es evaluar la eficacia y seguridad de los fármacos silenciadores (patisirán o inotersén) para amiloidosis ATTRv.

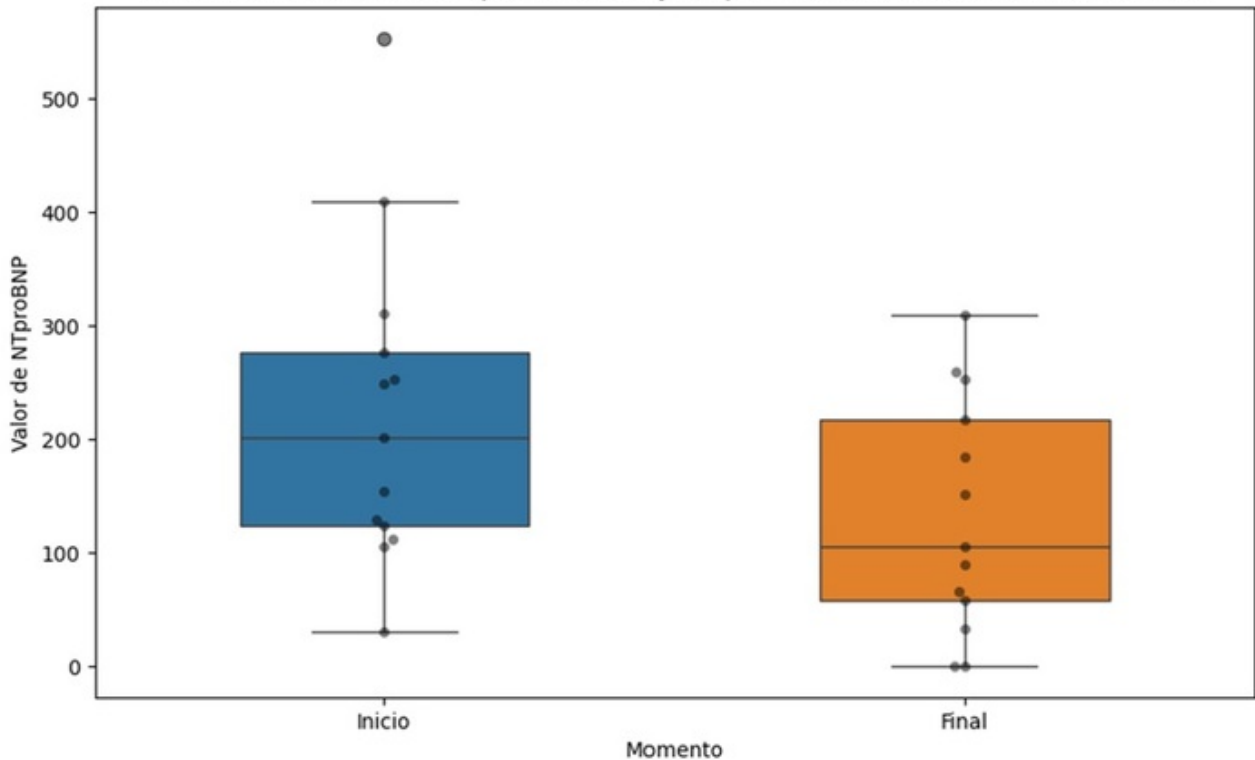
Métodos: Se realizó un estudio observacional retrospectivo de 19 pacientes diagnosticados con A-ATTRv y tratados con fármacos silenciadores en el periodo 2014-2024. Se recopilaron y analizaron datos clínicos, incluyendo la respuesta a los tratamientos y marcadores cardíacos como NTproBNP.

Resultados: La media de duración del tratamiento fue de 3,7 años con patisirán y 3,5 años con inotersén. La mayoría de los pacientes (81,2%) presentaron una respuesta total al tratamiento con patisirán, mientras que el 42,8% mostró una respuesta total con inotersén. El análisis del NIS reveló una tendencia a la estabilización o mejora de la neuropatía periférica en los pacientes tratados, aunque esta diferencia no alcanzó significancia estadística. Se observó una diferencia estadísticamente significativa en los niveles de NT-proBNP antes y después del tratamiento con silenciadores ($p < 0,05$), lo que sugiere una estabilización en la función cardíaca. En cuanto a la tolerancia al tratamiento, no se reportaron eventos adversos graves en ninguno de los grupos tratados.

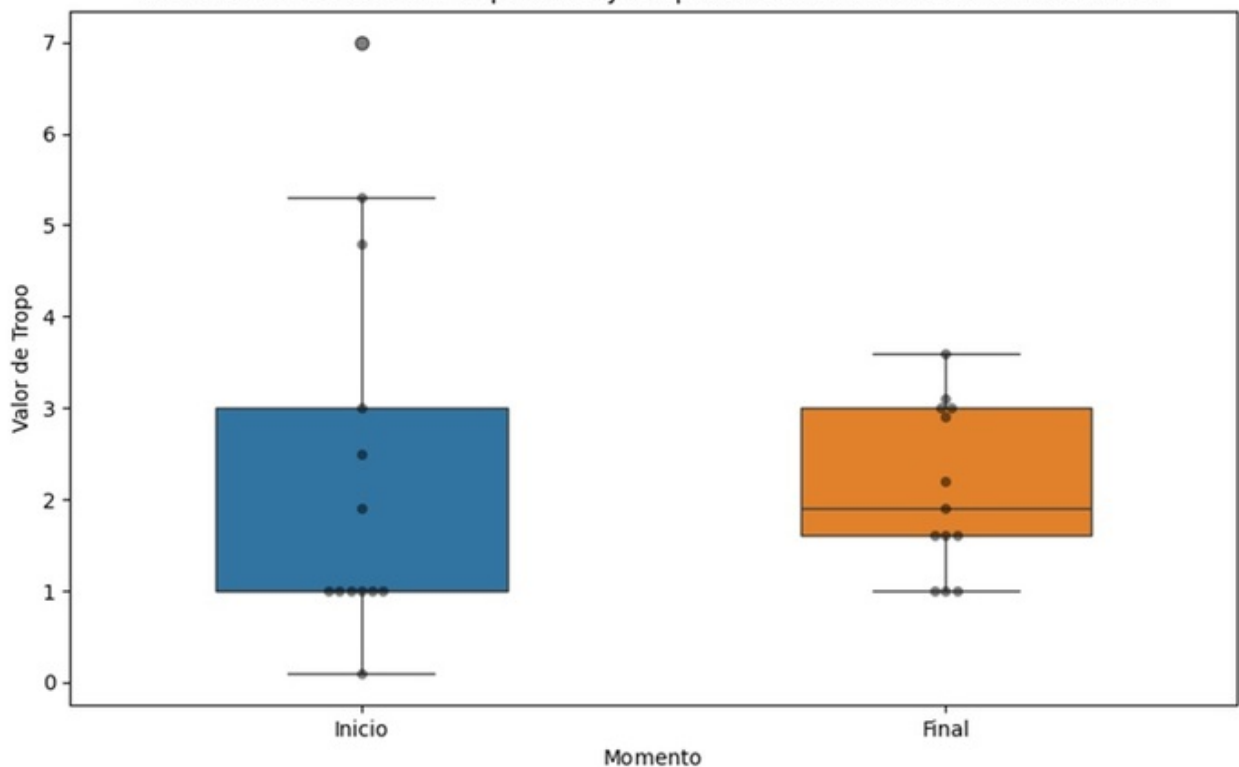
Box Plot con Dot Plot de NIS antes y después del tratamiento con silenciadores



Box Plot con Dot Plot de NTproBNP antes y después del tratamiento con silenciadores



Box Plot con Dot Plot de Tropono antes y después del tratamiento con silenciadores



Conclusiones: Estos resultados respaldan la eficacia del tratamiento con silenciadores en la reducción de la progresión de la A-ATTRv, especialmente en términos de estabilización de la función cardíaca medida por NT-proBNP. Sin embargo, se necesitan más estudios a largo plazo para confirmar estos resultados y optimizar el manejo de la enfermedad.