Rev Clin Esp. 2018;218(Espec Congr):248

Revista Clínica Española

https://www.revclinesp.es

EM-030 - IMPACTO DEL USO PREVIO DE ESTABILIZADORES DE TTR EN PACIENTES CON AMILOIDOSIS HEREDITARIA MEDIADA POR TRANSTIRETINA EN EL ESTUDIO EN FASE 3 APOLLO CON PATISIRAN

A. González Macía, E. Gutiérrez Jiménez, C. Mancilla Reguera, C. Borrachero Garro y F. Muñoz Beamud

Medicina Interna. Complejo Hospitalario de Especialidades Juan Ramón Jiménez. Huelva.

Resumen

Objetivos: En el estudio APOLLO, patisiran, un fármaco ARNi en investigación, logró una mejoría significativa de la neuropatía (mNIS+7) y de los valores de la escala Norfolk QOL-DN comparado con placebo en pacientes con amiloidosis AhTTR. El objetivo del estudio es evaluar el impacto del tratamiento previo con estabilizadores del tetrámero de TTR sobre la eficacia de patisiran en el estudio APOLLO.

Material y métodos: APOLLO es un estudio en fase 3, aleatorizado (2:1), doble ciego, en el que se administró patisiran 0,3 mg/kg o placebo iv cada 3 semanas en pacientes con amiloidosis AhTTR con polineuropatía (NCT01960348). El criterio de valoración principal fue la variación vs basal en la escala mNIS+7 a los 18 meses. El tratamiento con los estabilizadores del tetrámero de TTR tafamidis o diflunisal debía suspenderse 14 o 3 días antes de entrar en el estudio, respectivamente.

Resultados: El estudio APOLLO incluyó a 225 pacientes: edad media 60,5 años (24-83); 74% varones; 43% V30M. Antes de entrar en el estudio, un 53% habían recibido un estabilizador del tetrámero de TTR (tafamidis: n = 74, 33%; diflunisal; n = 45, 20%). Se observó mejoría a los 18 meses en los valores de las escalas mNIS+7 y Norfolk QOL- DN tanto en los pacientes que habían usado previamente un estabilizador como en los que no (tabla). Se presentan datos adicionales de eficacia y seguridad.

Resultados mNIS+7 y Norfolk QOL-DN

Análisis	Población de pacientes	Pacientes tratados con placebo (n)	Pacientes tratados con patisiran (n)	Diferencia entre tratamientos, media mínimos cuadrados (patisiran-placebo)	Intervalo de confianza 95%
mNIS+7	Total	77	148	-34,0	-39,9; -28,1
	Uso previo estabilizantes	25	76	-38,3	-46,1; -30,5
	Sin uso previo estabilizantes	26	61	-29,9	-39,1; -20,8

Norfolk QOL-DN	Total	77	148	-21,1	-27,2; -15,0
	Uso previo estabilizadores	41	78	-17,6	-25,7; -9,4
	Sin uso previo estabilizadores	36	70	-25,9	-36,2; -15,6

Conclusiones: Patisiran demostró un beneficio significativo frente a placebo en las escalas mNIS+7 y Norfolk QOL-DN tanto en los pacientes que habían usado previamente estabilizadores de TTR como en los que no, evidenciando que los pacientes con amiloidosis AhTTR que hayan recibido estabilizadores se pueden beneficiar de patisiran.

0014-2565 / © 2018, Elsevier España S.L.U. y Sociedad Española de Medicina Interna (SEMI). Todos los derechos reservados.