Rev Clin Esp. 2020;220(Espec Congr):214

Revista Clínica Española

https://www.revclinesp.es

EM-011 - EFICACIA DE PATISIRAN EN PACIENTES CON AMILOIDOSIS AHTTR TRATADOS PREVIAMENTE CON TAFAMIDIS: ANÁLISIS DEL ESTUDIO APOLLO

J. González-Moreno[1], I. Losada López[1], H. Lin[2], L. Obici[3], V. Planté-Bordeneuve[4], M. de Andrés[5], R. Riese[6] y O. B Suhr[7]

[1]Medicina Interna. Hospital Universitario Son Llàtzer. Palma de Mallorca (Illes Balears). [2]Alnylam Pharmaceuticals. Cambridge, EEUU. [3]Fondazione IRCCS Policlinco San Matteo. Pavia, Italia. [4]Henri Mondor Hospital-Assistance Publique-East Paris-Créteil. Paris, Francia. [5]Alnylam Pharmaceuticals España. Madrid. [6]Department of Public Health and Clinical Medicine. Department of Public Health and Clinical Medicine. [7]Umeå University. Umeå, Suecia.

Resumen

Objetivos: La es una enfermedad multisistémica y potencialmente mortal. Patisiran, un fármaco basado en ARNi, y tafamidis, un estabilizador de tetrámeros de TTR, son tratamientos aprobados para pacientes con polineuropatía por amiloidosis hereditaria por TTR (AhTTR). En el estudio fase 3 APOLLO, patisiran demostró una mejoría significativa en la polineuropatía y calidad de vida (QoL) basal a los 18 meses comparado con placebo. El objetivo es evaluar el efecto de patisiran en los pacientes que habían recibido tafamidis antes de participar en el estudio APOLLO.

Material y métodos: APOLLO es un estudio aleatorizado, controlado con placebo, realizado con patisiran en pacientes con polineuropatía por AhTTR (NCT01960348). Los pacientes tratados con tafamidis suspendieron el tratamiento con tafamidis ≥ 14 días antes de entrar en el estudio; se registró el motivo de la suspensión. Se evaluaron mediante análisis post-hoc los resultados de la escala mNIS+7 y de la escala Norfolk QOL-DN.

Resultados: APOLLO incluyó a 225 pacientes, 74 (32,9%) habían recibido previamente tafamidis. La duración media (DE) del tratamiento con tafamidis fue de 17,4 (16,1) meses; 25 (33,8%) de estos pacientes suspendieron el tratamiento con tafamidis debido a progresión, y 46 (62,2%) para participar en el estudio APOLLO. Estos pacientes demostraron una mejoría significativa en la escala mNIS+7 y el cuestionario Norfolk QOL-DN vs basal a los 18 meses (n = 45 para ambos criterios de valoración) comparado con placebo (n = 15 para el mNIS+7 y n = 14 para el Norfolk QOL-DN) (variación media MC (EEM) mNIS+7: -6,2 (2,4) vs 20,8 (3,8); variación media MC (EEM) Norfolk QOL-DN: -0,8 (2,8) vs 15,1 (4,4), respectivamente).

Conclusiones: Aproximadamente 1/3 de los pacientes del estudio APOLLO habían recibido previamente tafamidis. Éstos, al ser tratados con patisiran durante 18 meses mostraron una mejoría significativa de la neuropatía y calidad de vida, comparado con placebo, similar a la presentada por la población total tratada con patisiran.

Bibliografía

1. Adams D, González Duarte A, O'Riordan WD, Yang CC, Ueda M, et al. Patisiran, an RNAi Therapeutic, for Hereditary Transthyretin Amyloidosis. N Engl J Med. 2018;379(1):11-21.

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