



519 - EXPERIENCIA CLÍNICA CON TAFAMIDIS EN UN HOSPITAL DE TERCER NIVEL

Laura Pérez Abad¹, Amelia Campos Sáenz de Santa María¹, Clara Lanau Campo¹, Paula Vidales Miguelez¹, Julia Martínez Artigot¹, Pablo Revilla Martí¹, Raquel Pérez Palacios² y Miguel Ángel Aibar Arregui¹

¹Hospital Clínico Lozano Blesa, Zaragoza, España. ²IIS Aragón, Zaragoza, España.

Resumen

Objetivos: Evaluar parámetros clínicos y analíticos de seguimiento de los enfermos diagnosticados de amiloidosis cardíaca por transtirretina *wild type* (AC-TTRwt) tras el inicio de tafamidis.

Métodos: Estudio observacional y retrospectivo de pacientes con AC-TTRwt en tratamiento con tafamidis en un hospital de tercer nivel desde junio de 2023 hasta mayo de 2024, con excepción de un paciente que comenzó el tratamiento como parte de un ensayo clínico en octubre de 2021. Se incluyen variables demográficas, clínicas y analíticas antes y después del inicio del fármaco. A partir de estas variables se calculan las escalas pronósticas de Gillmore y Cheng, con fecha de mayo de 2024. También se recogen las hospitalizaciones por causa cardiovascular antes y después del tratamiento.

Resultados: El tamaño muestral es de 23 pacientes. Las características demográficas, clínicas y analíticas previas y posteriores al inicio de tafamidis están en la tabla 1. La duración media de tratamiento con tafamidis es de 9,61 meses ($\pm 5,78$), con un rango entre los 2 y los 32 meses. La tabla 2 recoge las relaciones estadísticas entre todas las variables previas y posteriores al inicio de tafamidis. En el contraste de hipótesis en función del tiempo medio de tratamiento, no se demuestran diferencias estadísticamente significativas en las variables clínicas, analíticas o pronósticas.

Tabla 1

	Pretafamidis	Postafamidis
Sexo	91,3% hombres (21/23), 8,7% mujeres (2/23)	
Edad (años)	81,2 \pm 5,27	
NYHA	Mediana NYHA: II	Mediana NYHA: I

I 43,5% (10/23)	I 59,1% (13/22)	
II 52,2% (12/23)	II 40,9% (9/22)	
III 4,3% (1/23)	III (0/22)	
IV (0/23)	IV (0/22)	
	*Hay un caso que no ha realizado todavía consulta de seguimiento tras inicio de tratamiento en el mes de marzo de 2024.	
FG (ml/min)	61,8 ± 18,9 [22, 90]	61,1 ± 18,8 [27, 90]
NT-proBNP (ng/mL)	2.518 ± 2.834 [199, 9.947]	3.215 ± 3.630 [196, 11.336]
Troponina T Us (ng/mL)	59,9 ± 45,1 [22, 199]	69,4 ± 47,7 [23, 162]
Escala Gillmore	1 61,9% (13/21)	1 63,6% (14/22)
2 23,8% (7/21)	2 23,3% (6/22)	
3 14,3% (3/21)	3 9,1% (2/22)	
*Hay 2 casos en los que no se ha podido realizar el cálculo por falta de valores clínicos o analíticos.	*Hay un caso en el que no se ha podido realizar el cálculo por falta de valores clínicos o analíticos.	
Escala Cheng agrupada	1-3 38,1% (8/21)	1-3 45,5% (10/22)
4-6 47,6% (12/21)	4-6 31,8% (7/22)	
7-9 14,3% (3/21)	7-9 22,7% (5/22)	
*Hay 2 casos en los que no se ha podido realizar el cálculo por falta de valores clínicos o analíticos.	*Hay un caso en el que no se ha podido realizar el cálculo por falta de valores clínicos o analíticos.	

Tabla 2

NYHA pre-tafamidis	NYHA pos-tafamidis	2,485	p 0,021
Gillmore pre-tafamidis	Gillmore pos-tafamidis	1,83	p 0,083
Cheng agrupado pre-tafamidis	Cheng agrupado pos-tafamidis	1,83	p 0,083
Hospitalización pre-tafamidis	Hospitalización pos-tafamidis	4,491	p 0,001
NT-proBNP pre-tafamidis	NT-proBNP pos-tafamidis	0,84	p 0,412
Troponina T Us pre-tafamidis	Troponina T Us pos-tafamidis	-0,686	p 0,507
FG pre-tafamidis	FG pos-tafamidis	1,025	p 0,317

Discusión: Tafamidis se comercializó y financió en España a mediados del año 2023, extendiéndose desde entonces su utilización. El ensayo clínico ATTR-ACT demostró reducción en la mortalidad por todas las causas y en la hospitalización por causa cardiovascular, así como enlentecimiento del deterioro funcional y clínico del enfermo. En nuestro estudio se han encontrado diferencias estadísticamente significativas en la clase funcional NYHA, en las escalas pronósticas Gillmore y Cheng, y en la tasa de hospitalización, demostrando mejoría tras el inicio de tafamidis. En el análisis en función del tiempo medio de tratamiento no se han obtenido diferencias estadísticamente significativas, lo que coincide con los resultados del estudio pivotal del fármaco, en el cual las curvas de supervivencia y de hospitalización entre el grupo tratamiento y el grupo placebo divergen a los 17 meses de seguimiento. El tiempo medio de seguimiento en nuestro estudio tras el inicio del fármaco es insuficiente de acuerdo a estos hallazgos, ya que es inferior a los 17 meses. Tanto en el ensayo ATTR-ACT como en un estudio llevado a cabo por la Universidad de Kumamoto (Japón) se observó descenso de las cifras de troponina T Us y mejoría del FG en los pacientes tratados. En nuestro estudio no se observan diferencias estadísticamente significativas, probablemente por el tamaño muestral reducido y el tiempo de seguimiento. No se ha demostrado empeoramiento significativo en ninguna de las variables tanto clínicas como analíticas tras el inicio del fármaco.

Conclusiones: Nuestro estudio apoya la evidencia científica disponible sobre tafamidis ya que demuestra mejoría de la clase funcional NYHA así como de la puntuación en las escalas pronósticas de la enfermedad, y disminución de las hospitalizaciones por causa cardiovascular, aunque se requiere mayor tamaño muestral y tiempo de seguimiento para confirmar los hallazgos.