

Relación entre el incremento precoz de la TTR sérica y la estabilización clínica y funcional con acoramidis en una serie de tres pacientes españoles con ATTR-CM: Seguimiento a 6 meses

Miguel Fernández de Sanmamed Girón(1), Mario Galván Ruiz(1), María del Val Groba Marco(1), Sheila Martínez Gutiérrez(1), Elvira Martín Bou(1), Marco Antonio Suárez Benítez(1), Ruben Andrades Guerra(1), María Aguiar Bujanda(1), Eduardo Caballero Dorta(1), Luis Burgos Ramírez(1), Alicia Conde Martel(2) y Antonio García Quintana(1) de (1)Cardiología y (2)Medicina Interna. Hospital Universitario de Gran Canaria Dr. Negrín, Las Palmas de Gran Canaria (Las Palmas) - España

Introducción: La cardiomiopatía amiloide por transtiretina (ATTR-CM) es una enfermedad progresiva con mal pronóstico. Acoramidis, un estabilizador de la transtiretina aprobado para el tratamiento de la ATTR-CM, ha demostrado un incremento temprano y sostenido de la TTR sérica (sTTR), el cual se correlaciona con una mejor supervivencia y una reducción de los eventos cardiovasculares.

El objetivo fue describir la experiencia inicial en España con acoramidis en los primeros 3 pacientes con ATTR-CM.

Métodos: Pacientes adultos con ATTR-CM (wild-type) fueron tratados con acoramidis HCl 800 mg dos veces al día. Se monitorizaron mediante analítica, escalas de calidad de vida y test de los 6 minutos al mes y a los seis meses tras el inicio del fármaco.

Resultados: Se observo un aumento marcado y sostenido de los niveles de transtirretina sérica (prealbúmina) en los tres pacientes a los 30 días y a los 6 meses tras el inicio del fármaco (Tabla 1).
Los niveles de NT-proBNP mostraron un comportamiento heterogéneo: el paciente 1 presento una reducción notable al primer mes y los pacientes 2 y 3 incrementos progresivos. El resto de los biomarcadores están recogidos en la tabla 1.
En cuanto a las escalas funcionales y de calidad de vida (figura 1), los tres pacientes mejoraron en la prueba de los 6 minutos (paciente 1 +18m, paciente 2 + 10m, y paciente 3 +108m). El índice EQ-5D-5L mejoró en los pacientes 1 (+11%) y 2 (+15%), mientras que el paciente 3 presento un descenso (-24%). La puntuación EVA mejoró en el paciente 1 (+50%), permaneció estable en los pacientes 2 y 3. El KCCQ mostró ligeros descensos en los tres pacientes, aunque sin deterioro clínico relevante.
No se registraron eventos cardiovasculares mayores ni efectos adversos graves durante el seguimiento inicial. A los seis meses, los pacientes continuaban clínicamente estables, sin progresión de la insuficiencia cardíaca ni aumento de dosis de diuréticos o cambios en la medicación de la insuficiencia cardíaca.

Conclusiones: Esta primera serie de casos en práctica clínica real confirma que acoramidis produce un aumento precoz y sostenido de la transtiretina sérica junto con estabilización clínica y funcional en pacientes con ATTR-CM, en línea con los resultados de los ensayos clínicos. La monitorización de la transtiretina sérica puede ser una herramienta útil como marcador precoz de respuesta al tratamiento.

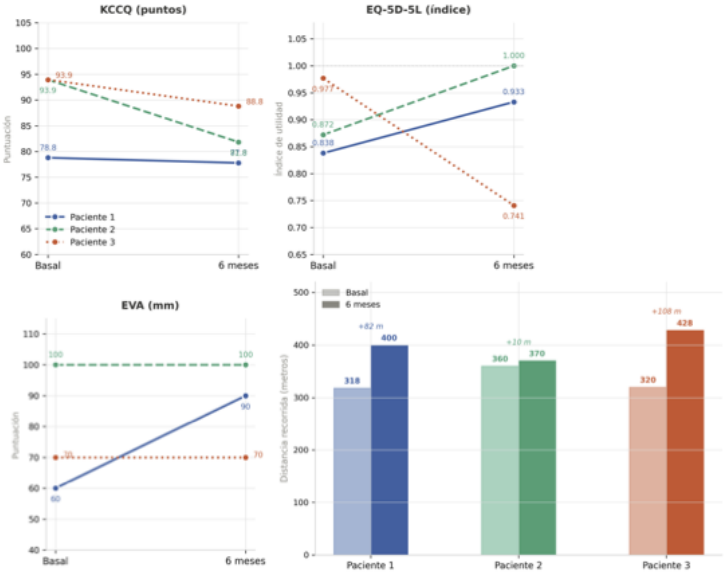


Tabla 1. Datos analíticos en el momento basal, al primer mes y a los 6 meses.

		Basal	1 mes	6 meses
Paciente 1	Creatinina (µmol/L)	1,08	1,11	1,16
	FGE (125 ml/min/1.73 m²)	62	60	57
	NT-pBNP (pg/mL)	1142	620	706
	TTUs (ng/L)	18	17	15
	Ca 12.5 (U/mL)	23	21,6	20,1
	Prealbumina (mg/dl)	18	24	28
Paciente 2	Creatinina (µmol/L)	0,87	0,92	0,89
	FGE (125 ml/min/1.73 m²)	80	70	79
	NT-pBNP (pg/mL)	346	353	714
	TTUs (ng/L)	35	30	32
	Ca 12.5 (U/mL)	4,5	6,1	4,1
	Prealbumina (mg/dl)	26	37	35
Paciente 3	Creatinina (µmol/L)	0,99	1,78	1,19
	FGE (125 ml/min/1.73 m²)	70	34	55
	NT-pBNP (pg/mL)	326	429	466
	TTUs (ng/L)	41	56	50
	Ca 12.5 (U/mL)	17,5	16,8	18,1
	Prealbumina (mg/dl)	29	38	37