

ANALISI DEL BENEFICIO CLINICO DEL FARMACO PATISIRAN NEL TRATTAMENTO DELL'AMILOIDOSI

EREDITARIA DA TRANSTIRETINA DOPO FOLLOW-UP A 24 CICLI DI TERAPIA

A. Siracusa¹

¹Programma Interdipartimentale di Allestimento Centralizzato, Policlinico «G. Martino»
Messina



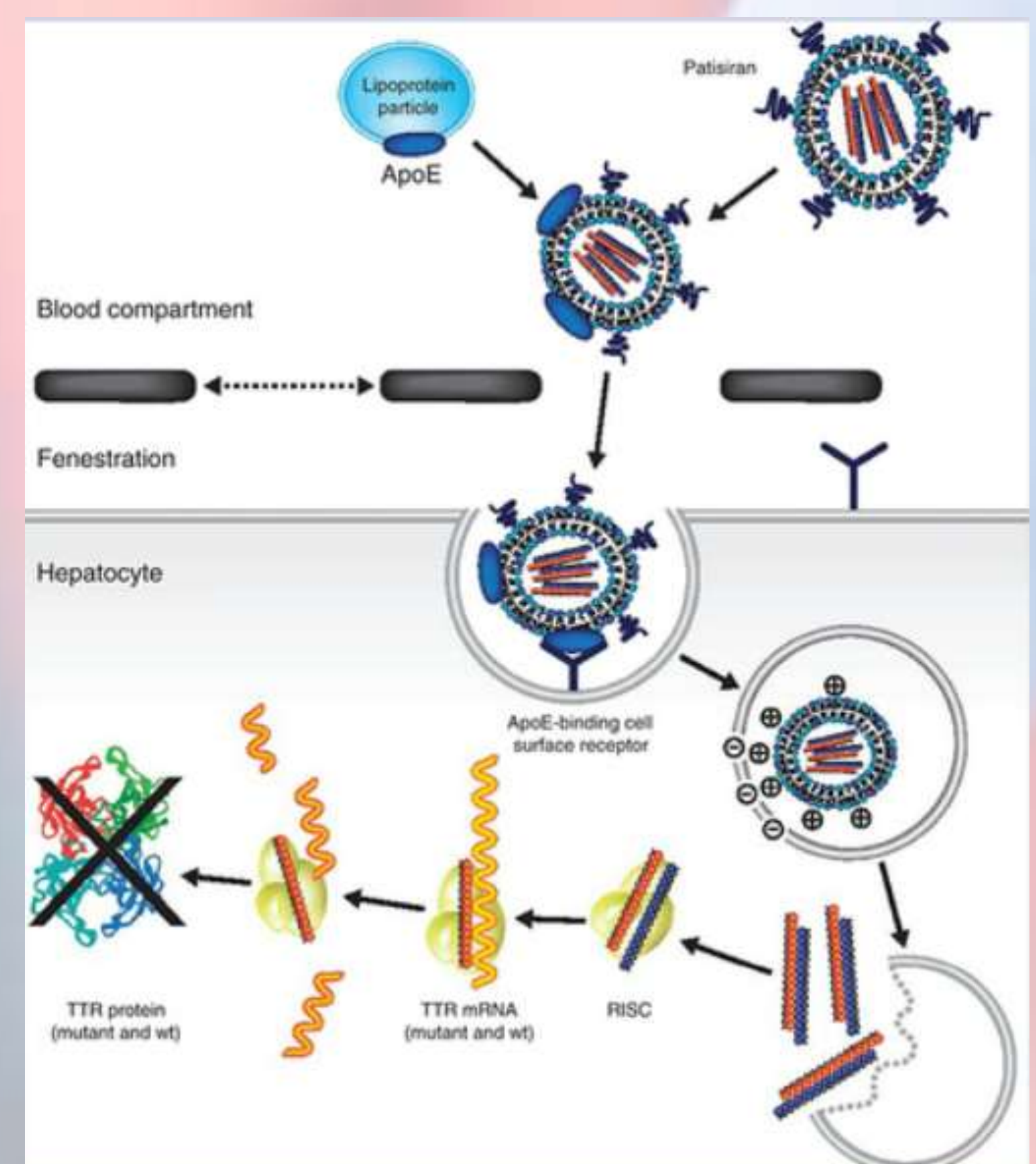
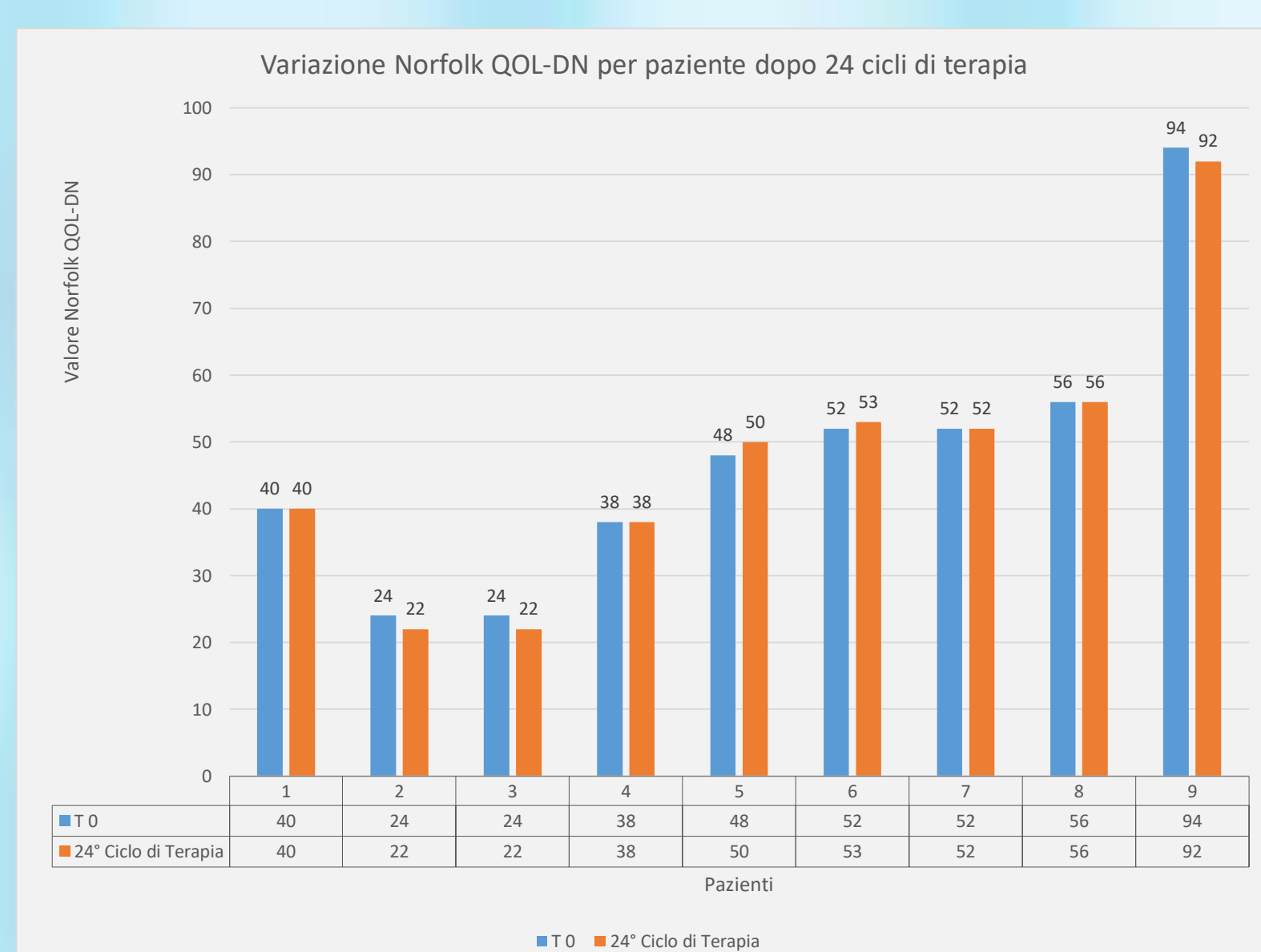
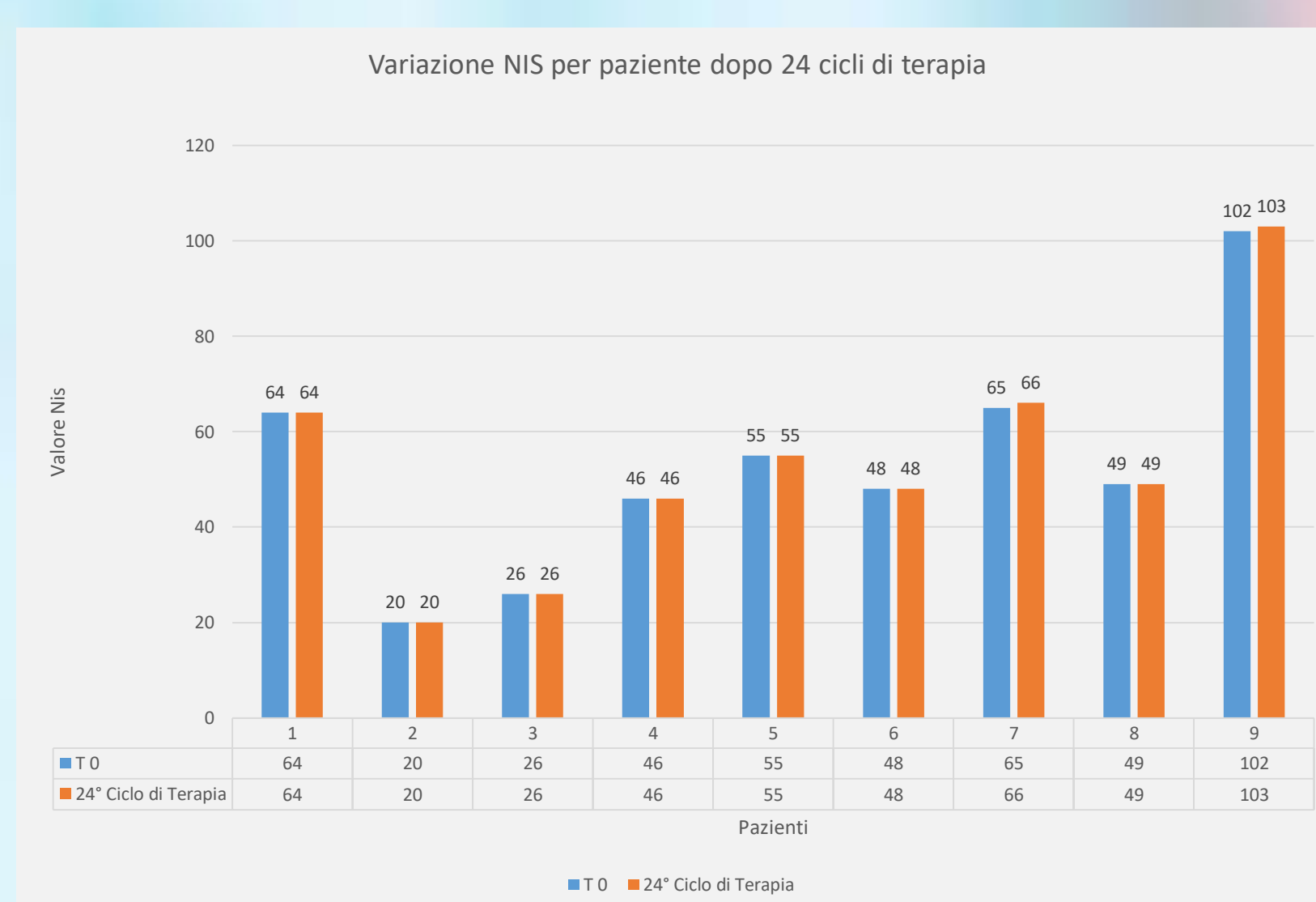
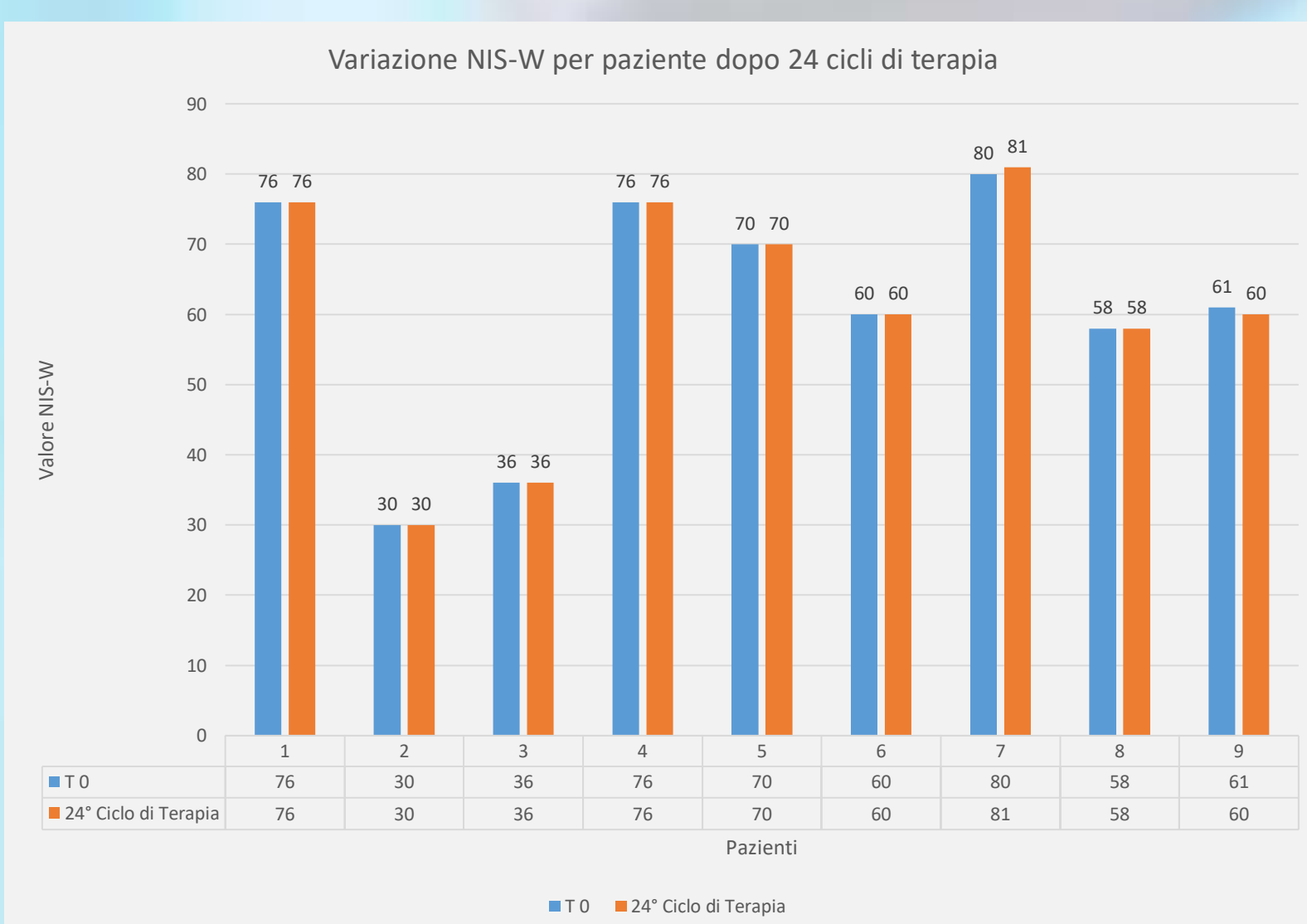
Background: Patisiran è indicato per il trattamento dell'amiloidosi ereditaria da transtiretina (hATTR) in pazienti adulti affetti da polineuropatia di tipo 1 o 2. Si tratta di un siRNA, un piccolo acido ribonucleico interferente a doppio filamento che agisce specificamente su una sequenza geneticamente conservata nella regione 3' non tradotta dell'intero mRNA di TTR mutante e wild-type. Il farmaco è in grado di ridurre del 80% la produzione endogena di transtiretina agendo principalmente sull'epatocita, il principale produttore della TTR nell'organismo.

Obiettivo: L'obiettivo di questo lavoro è quello di valutare il beneficio clinico dopo 24 cicli di trattamento con Patisiran nei pazienti in carico ad un'azienda ospedaliera della Regione Sicilia.

Materiali/metodi: Sono state analizzate le prescrizioni sui registri AIFA di nove pazienti in terapia con Patisiran da almeno 24 cicli, incrociando i dati di eleggibilità con quelli dei follow-up (uno ogni 12 cicli di terapia). L'età media dei pazienti era di 63 anni, per il 78% uomini; inoltre, il 55% dei pazienti analizzati presentava una Polineuropatia di tipo 1, mentre il 45% una Polineuropatia di tipo 2. Per l'analisi del beneficio clinico sono stati presi in considerazione tre parametri clinici e la loro evoluzione temporale: NIS - Neuropathy Impairment Score (range 0-244), NIS-W motor strength/weakness (Range 0-192), Norfolk QOL-DN - Quality of life Diabetic Neuropathy (Range - 4 a 136).



Risultati: In tutti i pazienti esaminati non emergono peggioramenti clinici importanti registrando di fatto poche variazioni degli score presi in considerazione. Nel dettaglio: il valore di NIS risulta pressoché invariato in tutti i pazienti tranne in due dove si evince un leggero peggioramento (di un punto); si registrano dei valori di NIS-W invariati per tutti i pazienti esaminati. Si assiste a leggere variazioni per il valore Norfolk QOL-DN: un miglioramento di due punti per tre pazienti e un peggioramento di un punto nello score per due pazienti. La tendenza alla stasi dei parametri considerati può far affermare che il 100% dei pazienti in carico ha avuto un beneficio clinico dal trattamento col farmaco.



Conclusioni: Dall'osservazione risulta che in tutti i pazienti è stato raggiunto un sostanziale arresto della progressione della patologia indicando una sostanziale stabilizzazione del quadro clinico generale, con beneficio sia in termini di outcome che in miglioramento della qualità di vita. Tale risultato positivo è stato confermato dalla prosecuzione della terapia oltre i primi 24 cicli per tutti i nove pazienti in carico. Al fine di valutare la possibilità di ulteriori benefici sarebbe opportuno approfondire l'indagine e monitorare i parametri studiati e gli esiti clinici dopo ulteriori 12/24 cicli di trattamento.