

EFFECTIVENESS vs EFFICACY dell'afèresi lipoproteica

Toffanello I.*, Cavazzana A.*, Andretta M.*, Colpo A.***, Fraccaro A.***, Realdon N.****

*UOC HTA – Azienda Zero, Regione del Veneto;

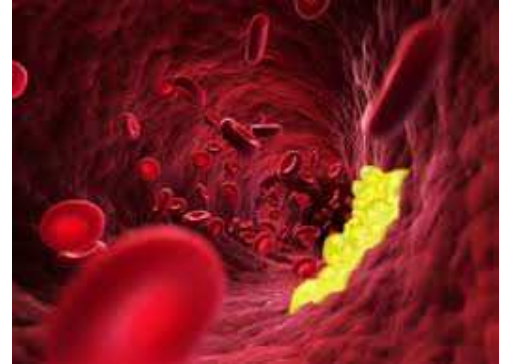
**UOC Immunotrasfusionale – Azienda Ospedaliera di Padova,

*** UOC Farmacia- Azienda Ospedaliera di Padova,

**** Università degli Studi di Padova

INTRODUZIONE e OBIETTIVI

L'ipercolesterolemia familiare(FH) nella forma Oz ha una frequenza di 1:1.000.000 con valori di CT>500 mg/dL e nella forma Hz ha una frequenza fra 1:200/1:500, con valori di C-LDL compresi tra 200 e 400 mg/dL. Si stima che in Italia vi siano circa 60 soggetti con FH Oz e un numero variabile fra 120.000/300.000 di soggetti con FH Hz. La prima linea terapeutica è costituita da statine ad alto dosaggio associate ad altri ipolipemizzanti. I pz che raggiungono il target terapeutico con queste combinazioni di farmaci sono pochi e l'alternativa è il trattamento con afèresi terapeutica (AL) o con inibitori PCSK9. Obiettivo primario è la valutazione dell'efficacia di AL in pz affetti da FH e/o iperLp(a) e il secondario è il confronto di dati di efficacia clinica di real life con dati di letteratura.



MATERIALI E METODI

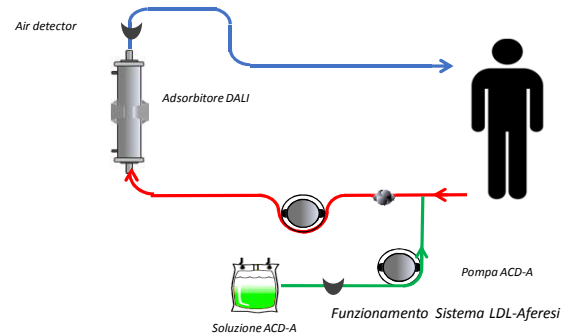
P	Patient, Population, or Problem	Pazienti affetti da ipercolesterolemia familiare e/o iperlipoproteinemia(a), con alto rischio di malattia CV, nonostante trattamento farmacologico massimizzato e/o intolleranti alle statine
I	Intervention, Prognostic Factor, or Exposure	Trattamento di afèresi lipoproteica in prima linea e/o in seconda linea
C	Comparison or Intervention	Terapia farmacologica standard consolidata
O	Outcomes you would like to measure or achieve	1) riduzione i livelli delle lipoproteine aterogene nel sangue, in particolare LDL e Lp(a) 2) rallentamento malattia CV 3) prevenzione della malattia CV

Tabella - Definizione del PICO

I pazienti inclusi, sia adulti che pediatrici, affetti da FH Oz o Hz e/o iperLp(a), sono stati arruolati in maniera retrospettiva tra quelli afferenti all'Unità di Afèresi Terapeutica dell'U.O.C. Immunotrasfusionale dell'Azienda Ospedaliera di Padova. I pz arruolati erano stati trattati con AL da almeno 6 mesi, in un periodo compreso tra Gennaio 2015 e Dicembre 2017. Per tutti i pz sono stati raccolti dati anamnestici e clinici, comprensivi dei trattamenti farmacologici effettuati e delle metodiche di AL utilizzate. E' stata svolta una revisione della letteratura tenendo in considerazione studi primari e secondari riguardo l'efficacia clinica dell'AL.

RISULTATI

Sono stati arruolati n.9 pazienti, n.7 adulti e n.2 pediatrici, che per caratteristiche cliniche risultano essere eterogenei. Tutti i pz presentavano malattia CV, di gravità differente. Le indicazioni all'AL sono molteplici, tra cui intolleranza alle statine e non raggiungimento del target terapeutico. Ogni singolo trattamento AL è risultato efficace nella diminuzione dei livelli di C-LDL ma nel lungo termine i pz hanno raggiunto con difficoltà il target terapeutico. L'analisi della letteratura evidenzia che i pazienti con FH hanno alto rischio di sviluppare malattia CV, a causa dell'elevato carico di CT fin dalla nascita, ma che AL è efficace nella rimozione di C-LDL e nella riduzione danni CV.



CONCLUSIONI

L'AL è risultata essere un trattamento efficace nelle FH e nelle iperLp(a) in quanto riduce i livelli di C-LDL e di Lp(a) e gli eventi CV. Non vi è sempre correlazione tra AL e diminuzione degli eventi CV; sono necessari ulteriori approfondimenti su un campione di pazienti stratificato per patologia, precocità di avvio del trattamento di AL e metodica di AL. Inoltre i dati a supporto del potere protettivo CV della AL in pazienti pediatrici sono insufficienti.

Al momento non sono disponibili dati che correlino AL ai nuovi inibitori di PCSK9, ma sarebbe necessario definire mediante studi controllati i ruoli di entrambi e le eventuali combinazioni. Si necessita di ulteriori studi multicentrici.

	PATOLOGIA	diminuzione mg/dL LDL intra trattamento	%	Media %
ADULTI	FH Oz e iperLp(a)	-126	60,00%	62,00%
	FH Hz	-43,63	22,0%	
	ARH	-135,52	66,2%	
	FH Hz	-105,79	73,9%	
	iperLp(a)	-56,76	82,0%	
	FH Hz e iperLp(a)	-62,54	98,3%	
PEDIATRICO	iperLp(a)	-106,18	50,0%	56,00%
	FH Oz compound	-255,21	62,0%	

Valori di C-LDL e relative diminuzioni DIAGNOSI vs PRE trattamento

Valori di C-LDL e relative diminuzioni PRE vs POST trattamento

	PATOLOGIA	diminuzione mg/dL tra basale e pre trattamento	diminuzione % tra basale e pre trattamento
ADULTI	FH Oz e iperLp(a)	-271	56,00%
	FH Hz	-403,37	67,00%
	ARH	-56,76	28,00%
	iperLp(a)	-	-
	FH Hz e iperLp(a)	-	-
	iperLp(a)	-1,91	3,00%
PEDIATRICO	FH Hz compound	-367,87	63,00%
	FH Oz	-533,03	56,00%