

# CARATTERIZZAZIONE CLINICA E PROGRESSIONE DELL'AMILOIDOSI CARDIACA TRANSTIRETINA: UN'ANALISI BASATA SU DATI AMMINISTRATIVI

POSTER: 32

CLICON S.R.L. SOCIETÀ BENEFIT, HEALTH, ECONOMICS & OUTCOMES RESEARCH

XXIV National Congress Italy Rome Chapter – Roma, 4-5 December 2024



ClCon

## BACKGROUND E OBIETTIVI

L'**amiloidosi cardiaca da transtiretina (ATTR-CM)** è una patologia fatale e progressiva caratterizzata dalla deposizione di transtiretina (TTR) mal ripiegata nel miocardio<sup>1</sup>. In Italia, nel 2021 è stato introdotto il tafamidis 61mg, il primo farmaco specifico per i pazienti affetti da ATTR-CM<sup>2</sup>. Nonostante il progresso rappresentato dal tafamidis 61mg, le opzioni terapeutiche disponibili restano limitate<sup>3</sup>. Inoltre, i dati sull'utilizzo nella pratica clinica italiana sono scarsi.

**OBIETTIVI.** Il presente studio ha come obiettivo descrivere le caratteristiche e gli esiti clinici dei pazienti affetti da ATTR-CM trattati con tafamidis.

## MATERIALI E METODI

### FONTI DEI DATI E PAZIENTI

È stata condotta un'analisi retrospettiva utilizzando dati amministrativi e di laboratorio di un gruppo di enti sanitari italiani tra il 2021 ed il 2023, rappresentati circa da 12 milioni di assistiti

Sono stati inclusi pazienti adulti con *almeno una prescrizione di tafamidis 61mg* (data indice: prima prescrizione).

L'analisi ha valutato il **rischio di ospedalizzazione**, per tutte le cause e per eventi cardiovascolari (CV), e l'**andamento dei valori** del frammento N-terminale del pro-peptide natriuretico di tipo B (**NT-proBNP**) e dell'**intensificazione dei diuretici (ODI)**, parametri chiave della progressione della patologia.

## RISULTATI

### CARATTERISTICHE DELLA POPOLAZIONE

Sono stati identificati **197** pazienti con almeno una prescrizione di tafamidis 61mg, di cui il 90,9% uomini, con un'età media di 76,5 anni. (Tab.1)

Tab. 1: Caratteristiche demografiche e cliniche della popolazione	ATTR-CM TRATTATI (N=197)
<b>Età alla data indice, media (DS)</b>	76,5 (6,8)
<b>Gruppi di età</b>	
18-65 anni, n (%)	16 (8,1)
66-70 anni, n (%)	18 (9,1)
71-80 anni, n (%)	100 (50,8)
> 80 anni, n (%)	63 (32,0)
<b>Maschi, n (%)</b>	179 (90,9)
<b>Charlson Index, media (DS)</b>	0.7 (1.1)

### LIVELLI DI NT-proBNP

In 24 pazienti è stato possibile monitorare i livelli di NT-proBNP prima e dopo l'inizio del trattamento, mostrando una progressione dai valori basali secondo i criteri di Ioannou et al.<sup>4</sup> rispetto ai valori basali nel **37,5%** dei casi (Tab.2).



Periodo	NT-proBNP (ng/L)	Tempo tra rilevazione di NT-proBNP e ID (mesi)	Pazienti con progressione di NT-proBNP, n (%)
Pre-ID	Media (DS): 4,744.8 (4,290.6) Mediana: 3,269.5	Media (DS): 4.1 (5.5) Mediana: 2.5	9 (37.5%)
Post-ID	Media (DS): 5,817.2 (5,559.2) Mediana: 3,965.5	Media (DS): 4.8 (4.3) Mediana: 3.4	

Tab. 2: Livelli di NT-proBNP. La progressione di NT-proBNP è stata definita come l'incremento >700 ng/L e del >30.0% dalla misurazione basale.

### VALUTAZIONE DELL'ODI

'ODI è stata definita come l'inizio di un nuovo diuretico dell'ansa (per pazienti non in trattamento con diuretici orali dell'ansa al basale) o un aumento sostenuto della dose per oltre 30 giorni (per chi già assumeva diuretici). Durante tutto il periodo di follow-up disponibile, il **46,2%** (n=91) dei pazienti ha richiesto un ODI (Fig.1).

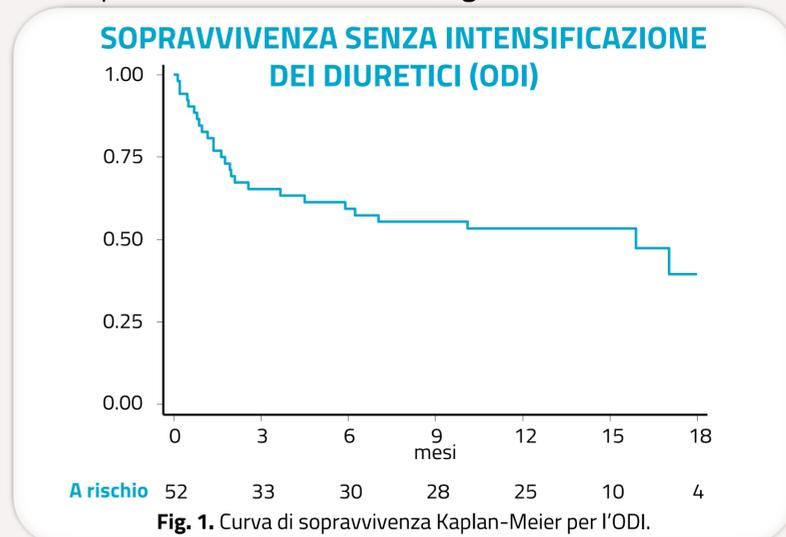


Fig. 1. Curva di sopravvivenza Kaplan-Meier per l'ODI.

### RISCHIO DI OSPEDALIZZAZIONE

Infine, i pazienti trattati con tafamidis (**in blu**) hanno mostrato un rischio maggiore di ospedalizzazioni (Fig.1), sia per tutte le cause che per eventi cardiovascolari (CV) (Fig.2), rispetto a una coorte controllo bilanciata per sesso ed età, senza ATTR-CM (**in verde**).

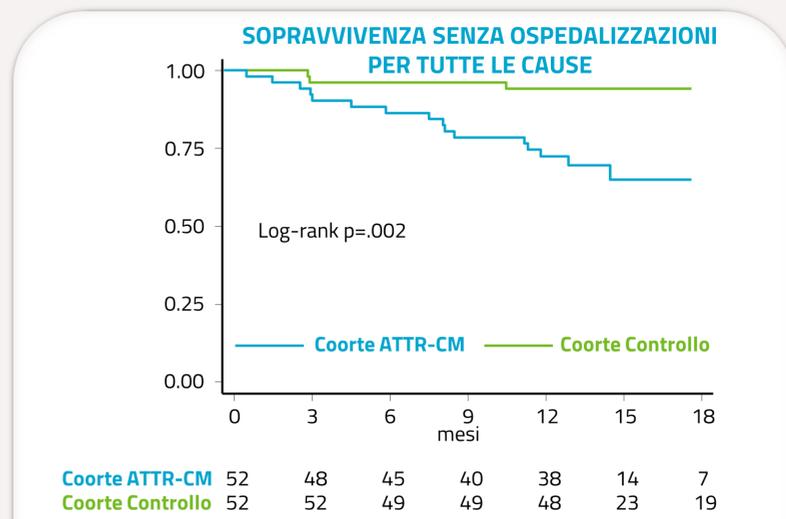


Fig. 2. Curva di sopravvivenza Kaplan-Meier per qualsiasi ospedalizzazione.

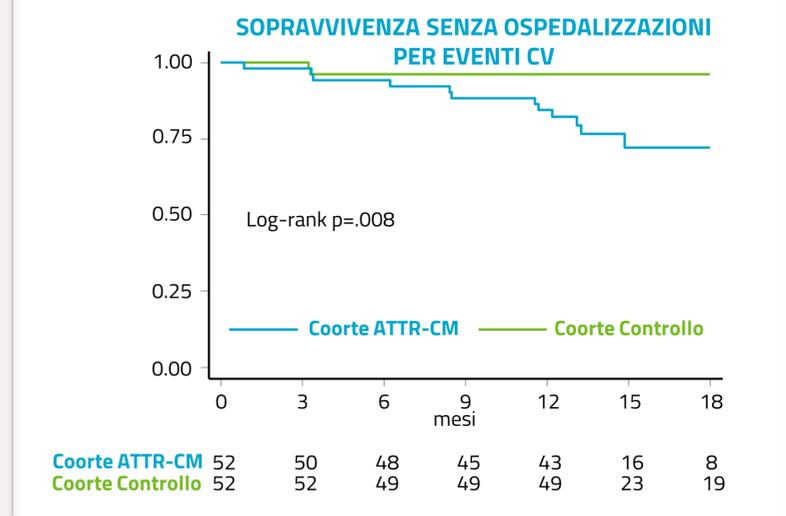


Fig. 3. Curva di sopravvivenza Kaplan-Meier per ospedalizzazione CV.

## REFERENZE

- Jain A, Zahra F. Transthyretin Amyloid Cardiomyopathy (ATTR-CM) [Updated 2023 Apr 27]. In: StatPearls [Internet]. Treasure Island (FL): StatPearls Publishing; 2024 Jan-. Available from: <https://www.ncbi.nlm.nih.gov/books/NBK574531/>
- Gazzetta Ufficiale. <https://www.gazzettaufficiale.it/eli/id/2021/10/19/21A06098/sg>
- Coelho, T. et al. (2016) 'Mechanism of Action and Clinical Application of Tafamidis in Hereditary Transthyretin Amyloidosis', Neurology and Therapy 2016 5:1, 5(1), pp. 1-25. Doi: 10.1007/S40120-016-0040-X.
- Ioannou A, et al. Stratifying Disease Progression in Patients With Cardiac ATTR Amyloidosis. J Am Coll Cardiol. 2024 Apr 9;83(14):1276-91. Available from: <https://www.jacc.org/doi/10.1016/j.jacc.2023.12.036>

## CONCLUSIONI

I risultati dell'analisi, condotta nella reale pratica clinica italiana, indicano che, nonostante i benefici apportati dal tafamidis 61mg, persiste la necessità di migliorare la gestione dei pazienti con ATTR-CM attraverso ulteriori opzioni terapeutiche e un maggiore monitoraggio di parametri come ODI e NT-proBNP.

## AUTORI

MARTA NUGNES<sup>1</sup>, MELANIA LEOGRANDE<sup>1</sup>, ANDREA CINTI LUCIANI<sup>1</sup>,  
LUCA DEGLI ESPOSTI<sup>1</sup>

<sup>1</sup>ClCon S.r.l. Società Benefit Health, Economics & Outcomes Research, Bologna, Italia